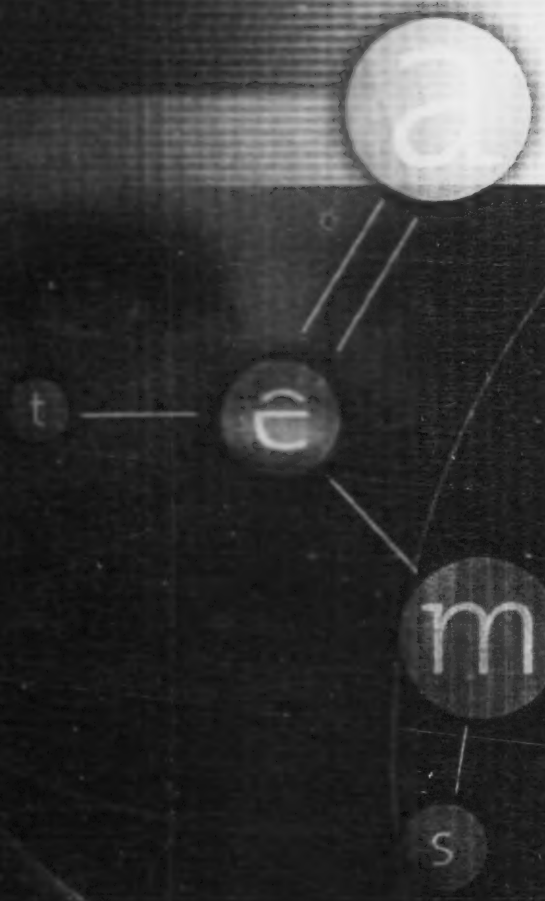
Liquid Oxygen Therapy at home



AGENCE D'ÉVALUATION DES TECHNOLOGIES ET DES MODES D'INTERVENTION EN SANTÉ

Québec

Liquid Oxygen Therapy at Home

Report prepared for AETMIS
by Susan Law

January 2005

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé
Québec

The content of this publication was written and produced by the *Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé* (AETMIS). Both the original report and its French version, titled *Oxygénothérapie à domicile : les appareils à oxygène liquide* are available in PDF format on the AETMIS Web site.

Scientific review
Alicia Framarin, M.D., M.Sc.

Editorial supervision
Suzie Toutant

Proofreading
Frédérique Stephan

Page layout
Jocelyne Guillot
Frédérique Stephan

Biographical verification
Mathieu D'Amours

Coordination
Lise-Ann Davignon

Communications and dissemination
Richard Lavoie, M.A. (Communication)

For information about this publication or any other AETMIS activity, please contact:

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé
2021, avenue Union, bureau 1050
Montréal (Québec) H3A 2S9

Tel.: (514) 873-2563
Fax: (514) 873-1369
e-mail: aetmis@aetmis.gouv.qc.ca
http://www.aetmis.gouv.qc.ca

How to cite this publication:

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS). Liquid Oxygen Therapy at Home. Report prepared by Susan Law (AETMIS 04-08). Montreal: AETMIS, 2005, vi-13 p.

Legal Deposit
Bibliothèque nationale du Québec, 2005
National Library of Canada, 2005
ISBN 2-550-43750-0 (French edition ISBN 2-550-43751-9)

© Gouvernement du Québec, 2005.

This report may be reproduced in whole or in part, provided that the source is cited.

MISSION

The mission of the *Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé* (AETMIS) is to contribute to improving the Québec health-care system and to participate in the implementation of the Québec government's scientific policy. To accomplish this, the Agency advises and supports the Minister of Health and Social Services as well as the decision-makers in the health care system, in matters concerning the assessment of health services and technologies. The Agency makes recommendations based on scientific reports assessing the introduction, diffusion and use of health technologies, including technical aids for disabled persons, as well as the modes of providing and organizing services. The assessments take into account many factors, such as efficacy, safety and efficiency, as well as ethical, social, organizational and economic implications.

EXECUTIVE

Dr. Luc Deschênes
Cancer Surgeon, President and Chief Executive Officer of AETMIS, Montréal, and Chairman, Conseil médical du Québec, Québec

Dr. Véronique Déry
Public Health Physician, Chief Executive Officer and Scientific Director

Jean-Marie R. Lance
Economist, Senior Scientific Advisor

Dr. Alicia Framarin
Physician, Scientific Advisor

BOARD OF DIRECTORS

Dr. Jeffrey Barkun
Associate Professor, Department of Surgery, Faculty of Medicine, McGill University, and Surgeon, Royal Victoria Hospital (MUHC), Montréal

Dr. Marie-Dominique Beaulieu
Family Physician, Holder of the Dr. Sadok Besrour Chair in Family Medicine, CHUM, and Researcher, Unité de recherche évaluative, Hôpital Notre-Dame (CHUM), Montréal

Dr. Suzanne Claveau
Specialist in microbiology and infectious diseases, Hôtel-Dieu de Québec (CHUQ), Québec

Roger Jacob
Biomedical Engineer, Coordinator, Services des immobilisations, Agence de développement de réseaux locaux de services de santé et de services sociaux de Montréal, Montréal

Denise Leclerc
Pharmacist, Board Member of the Institut universitaire de gériatrie de Montréal, Montréal

Louise Montreuil
Assistant Executive Director, Direction générale de la coordination ministérielle des relations avec le réseau, ministère de la Santé et des Services sociaux, Québec

Dr. Jean-Marie Moutquin
Obstetrician/Gynecologist, Scientific Director, Centre de recherche, CHUS, Sherbrooke

Dr. Réginald Nadeau
Cardiologist, Hôpital du Sacré-Cœur, Montréal, Board Member of the Conseil du médicament du Québec, Québec

Guy Rocher
Sociologist, Professor, Département de sociologie, and Researcher, Centre de recherche en droit public, Université de Montréal, Montréal

Lee Soderström
Economist, Professor, Department of Economics, McGill University, Montréal

FOREWORD

The benefits of long term oxygen therapy for chronic obstructive pulmonary disease (COPD) have been well established and there is good consensus internationally around clinical indications for referral and treatment. There is, however, only limited evidence and guidance about the use of portable oxygen systems (liquid or gas) at home as a component of long term oxygen therapy.

The *Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé* (AETMIS) recently published a report on home oxygen therapy, and was subsequently asked by the Québec Ministry of Health and Social Services to examine the available evidence specific to liquid oxygen therapy, in terms of costs and benefits, and the implications for the home oxygen program in Québec.

Liquid oxygen systems for home use were introduced in the 1980s to offer patients the convenience of smaller, lighter equipment that delivered oxygen for an extended time period outside the home, in comparison to other oxygen delivery systems. There is a wide variation in the use of liquid oxygen at home and in the organization of services within and across jurisdictions. Technology in this area continues to evolve rapidly, although the specific benefits to patients have not been adequately documented. There is scant evidence regarding the contribution of liquid systems to enhanced duration and quality of life in comparison to other systems; there is some evidence that the technology has some advantages in terms of user-friendliness. Guidelines for use have recently been published in the United Kingdom and the United States that suggest criteria related to the patient's mobility, usage, and compliance.

There is no routine data available about the cost or utilization of liquid oxygen therapy in Québec, although its use is known to be rare as a 'traitement d'exception' in the public system, given the relatively higher cost and clinical concerns about added benefit. Its use is higher in Ontario where it is covered by the provincial Home Oxygen Program. It is likely that this technology would offer some benefit to active COPD patients although the identification of clinical and social criteria for assessment and monitoring should be developed by clinicians and decision-makers in Québec within the context of a comprehensive home oxygen program.

In submitting this report, AETMIS aims to contribute to informed decision-making across Québec with respect to what is currently known and what information we need in order to establish evidence-based policy and practice for the use of liquid oxygen therapy at home.

Dr. Luc Deschênes
Chairman and Chief Executive Officer

ACKNOWLEDGEMENTS

This report was prepared by **Susan Law**, MHSc, Consultant Researcher, at the request of the *Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé* (AETMIS).

The following individuals were instrumental in providing key support, information and guidance in the preparation of this report:

EXTERNAL REVIEWERS

Dr. Yves Lacasse
Respirologist, Hôpital Laval, Quebec City

Ms. Danielle St-Jules
RN, Head of the Regional Department for Home Care Services, Hôpital Maisonneuve-Rosemont, Montreal

AETMIS INFORMATION SPECIALISTS

Pierre Vincent
Micheline Paquin

CONFLICT OF INTEREST

None declared.

SUMMARY

INTRODUCTION

The benefits of long term oxygen therapy (LTOT) for chronic obstructive pulmonary disease (COPD) are well established. Portable oxygen systems have been assessed in an AETMIS report published in 2004. These systems, developed to provide patients who are active outside the home with an oxygen supply include compressed gas systems, liquid oxygen systems, and oxygen concentrators. This report presents the results of a comprehensive literature review, prepared in response to a request from the Québec Ministry of Health and Social Services to examine the available evidence about the indications, clinical efficiency, and cost-effectiveness of liquid oxygen therapy as well as the implications on the organization of and access to the home oxygen program in Québec.

METHODOLOGY

A search and review of the scientific literature was undertaken in a number of databases including those of Health Assessment Agencies and of the International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA). Other documents and government reports have also been reviewed.

RESULTS

Although there are no published clinical indications for the use of liquid oxygen systems at home, the prescription criteria of the available guidelines are based on patient's mobility and usage. The lighter liquid oxygen systems are recommended for LTOT-dependent patients who need to go outside their home on a regular basis.

There are no existing data which would indicate that liquid oxygen systems allow for extended daily duration of therapy or for improved quality of life in comparison to other oxygen supply systems (portable or stationary). Furthermore, there is limited evidence that this technology is more user-friendly and advantageous than the compressed gas systems. Comparative costs were reported in one study conducted in Sweden which reveals that liquid oxygen is four times as expensive as the standard therapy (concentrator plus portable cylinder). Utilization of liquid oxygen systems and access to this treatment vary within and across jurisdictions, and depend on the patients insurance coverage. In Canada, the use of liquid oxygen systems is higher in Ontario where it is covered by the provincial Home Oxygen Program. In Québec, given the relatively higher cost and clinical concerns about added benefit, liquid oxygen systems are offered in the public system only as a 'traitement d'exception' to patients who spend lengthy periods of time out of their home either for work or for leisure or need high flow rates. Nevertheless, patients who wish to use these systems can buy one directly from a supplier.

New systems of portable oxygen supply, such as a portable concentrator that has been developed in Montreal and is being tested for clinical use, may in the future compete as alternatives to liquid oxygen therapy.

CONCLUSION

There is very limited information about the effectiveness of liquid oxygen therapy in comparison to compressed gas delivery systems in terms of enhanced patient compliance, mobility, or quality of life. A small minority of patients with COPD on LTOT who have active lifestyles would likely benefit from the enhanced portability of liquid oxygen therapy. The identification of clinical and social indications or assessment criteria for the use of liquid oxygen therapy should be determined through a process of consensus amongst respirologists and decision-makers in Québec, within the context of developing overall guidelines for home oxygen programs.

TABLE OF CONTENTS

MISSION i
FOREWORD iii
ACKNOWLEDGEMENTS iv
SUMMARY v
1 INTRODUCTION 1
2 HTA RESEARCH QUESTIONS 2
3 METHODOLOGY 2
4 RESULTS 3
4.1 Development of liquid oxygen systems 3
4.2 Indications for prescribing 4
4.3 Utilization and access 5
4.4 Clinical and cost-effectiveness 6
4.5 Patient perspectives 8
4.6 New developments 8
5 CONCLUSION 10
6 IMPLICATIONS FOR POLICY, PRACTICE AND RESEARCH 10
APPENDIX : HIERARCHY OF EVIDENCE AND GRADING OF RECOMMENDATIONS 11
REFERENCES 12

LIST OF TABLES

Table 1 Comparison of portable oxygen therapy delivery systems 3
Table 2 Randomized controlled trials (RCT) including information about the effectiveness of liquid oxygen therapy 7

1 INTRODUCTION

The benefits of long-term oxygen therapy (LTOT) for chronic obstructive pulmonary disease (COPD) have been well established [MRC Working Party, 1981; NOTT Group, 1980], and there is good consensus internationally about its clinical indications for LTOT [GOLD, 2001]. Although they appear to have been universally adopted, these indications do not include criteria for prescribing portable or ambulatory oxygen therapy. There is a wide variation across and within jurisdictions around the use of portable or ambulatory systems, including compressed gas and liquid oxygen, as a component of LTOT. This is likely due to a number of factors, including:

- the limited evidence on clinical and cost-effectiveness of these systems;
- the lack of follow-up and monitoring arrangements that would provide information about utilization;
- and persistent problems with regard to patient compliance with therapy and professional knowledge of prescribing criteria.

Liquid oxygen systems for domiciliary use were introduced in the 1980s, in an effort to provide patients who are active outside the home with a lighter-weight, longer-lasting source of oxygen in comparison with compressed gas systems. Liquid systems are, however, more expensive and, as for portable systems in general, there is no consensus regarding indications for use or prescribing.

In Québec, as in other jurisdictions around the world, there has been no clear policy to date regarding the use of liquid oxygen therapy within the home oxygen program. Recommendations for the use of home oxygen therapy were published in Québec [Comité d'oxygénothérapie à domicile, 2000] for COPD and other indications that are consistent with the international criteria, yet this does not include criteria for the prescription of portable systems. For patients requiring LTOT at home, predominantly those with COPD, the most common form of oxygen delivery system used at home is the fixed concentrator. An AETMIS [2004] report on portable oxygen therapy has been completed. This report found variable access to any form of portable oxygen therapy in Québec, although it did not synthesize the published evidence specific to liquid oxygen therapy.

In October 2003, the Québec Ministry of Health and Social Services requested AETMIS to undertake an evaluation of the costs and benefits of liquid oxygen therapy within the home LTOT program and specifically, the potential benefits for patients and the implications for the cost and organization of home oxygen therapy in Québec.

This report presents the results of a comprehensive search and review of the literature on the use and benefits of liquid oxygen therapy.

2 HTA RESEARCH QUESTIONS

1) What is liquid oxygen therapy; when and how did it evolve?

2) What is the evidence regarding the clinical and cost-effectiveness of liquid oxygen therapy—including impact on quality of life and safety issues—in comparison to fixed and gas systems of oxygen delivery?

3) How are services organized and delivered? What information is available on the pattern of utilization and access in Québec and other jurisdictions?

3 METHODOLOGY

The following databases were included in the search: MEDLINE (1980 to January 29, 2004); EMBASE (1980 to January 29, 2004); Cochrane Library, Issue 1, 2004; Government documents and reports (grey literature); HTA agencies—INAHTA database(s); Web-based search.

Key words used in the search included: liquid oxygen, liquid oxygen therapy, portable OR ambulatory, COPD, RCT, AND organization. For the MEDLINE and EMBASE search, the search statement was: "(liquid(w) oxygen and oxygen(2w)therap?)/human".

For inclusion in this report, all papers had to contain the following information:

- liquid oxygen therapy as part of LTOT;
- study subjects included COPD patients on LTOT;
- therapy delivered at home.

For questions 1 and 3, regarding the definition, utilization and organization of services, papers were selected that included:

- description of utilization, organization and supply;
- international comparisons;
- review papers.

For question 2, regarding the clinical and cost-effectiveness of liquid oxygen therapy, papers were selected that met the following criteria:

- comparisons studies of liquid vs. compressed gas and/or vs. fixed systems;
- randomized and/or controlled trials of liquid oxygen therapy vs. gas or placebo.

4 RESULTS

4.1 DEVELOPMENT OF LIQUID OXYGEN SYSTEMS

Liquid oxygen systems preserve 100% oxygen in a liquid state at -297.3 degrees Fahrenheit (-183°C). Liquid oxygen systems first became available for hospital use in the 1900s, although it was not until the 1960s and 70s that liquid oxygen was available outside the hospital [Kacmarek, 2000]. Liquid oxygen for home use was promoted on the convenience of its size—1 L of liquid oxygen is equivalent to 840 L of gaseous oxygen (using about 10% of the space required by compressed gaseous oxygen). Liquid oxygen systems for home use include a large stationary reservoir (about 40 L of oxygen) and a companion portable cylinder system. The portable cylinders can be refilled from the reservoir by patients who have received adequate training. At a flow rate of 2 L/min, 24 hours per day, these systems provide oxygen for about 11 days. At this rate, the reservoir typically needs refilling every 10 to 14 days by a supplier. Portable liquid oxygen cylinders last up to four times longer than portable compressed gas cylinders, and longer when equipped with an oxygen-conserving device.

The advantages of portable liquid oxygen systems are their smaller size and lighter weight, allowing patients to stay longer outside their home. Oxygen-conserving devices (OCD) that attach to portable systems provide oxygen on inspiration only, increasing the duration of use available with portable systems. When used with compressed gas cylinders, the time available is equivalent to liquid oxygen systems, depending on the flow and type of system [Royal College of Physicians, 1999]. Table 1 compares the three delivery systems available for home use.

TABLE 1

Comparison of portable oxygen therapy delivery systems

SYSTEM	WEIGHT	MAXIMUM DURATION OF USE (AT 2 L/MIN) FOR PORTABLE USAGE
Compressed gas		
Aluminum E cylinder (680 litres)	7.5 lbs	5 hrs
M6 cylinder (140 litres)	N/A	2 hrs; 4-6 hrs with OCD
Liquid (1 litre cylinder: 840 litres gas)	3.5-7 lbs	3-4 hrs; 7-10 hrs with OCD
Concentrator (small portable device)	10 lbs	depends on battery size (e.g. 50 mins.)

N/A. Data not available.
Source: Adapted from Kacmarek, 2000; McCoy, 2001.

Danielle St-Jules, head of the Regional Department for Home Care Services at Hôpital Maisonneuve-Rosemont, provided additional information to supplement the published information above[1]: an OCD can now be installed with an E cylinder; in practice, an M6 cylinder will last only 1.4 hours without an OCD; patients are required to carry 2-3 batteries with them when using portable concentrators since a battery only last approximately 50 minutes.

1. Personal communication, May 6, 2004.

As with any home oxygen system, there is a risk of fire and burns to patients if the oxygen comes into contact with an open flame. The risks specific to liquid oxygen systems include the potential risk of frostbite while refilling the portable cylinder if the liquid oxygen comes into contact with the skin—this is an unlikely occurrence[2]—although not well documented in the literature in terms of frequency or incidence of accidental frostbites; the unit may freeze while refilling and cease to operate. Other important disadvantages with the use of liquid oxygen systems are that the reservoir is very large and requires adequate space in a patient's home to house the unit, and that oxygen evaporates from the cylinders and reservoir over time, requiring frequent refilling.

4.2 INDICATIONS FOR PRESCRIBING

There are no published clinical indications for the use of liquid oxygen systems at home. Indications for portable systems that use mobility and usage as key criteria for prescribing have recently been published in the United Kingdom and the United States.

In 1999, a working party of the British Royal College of Physicians (RCP) published guidelines for home oxygen therapy, including the following statement about portable oxygen:

> "Ambulatory oxygen therapy is indicated in patients on LTOT who are mobile and need to or can leave the home on a regular basis. The type of portable device provided will depend on the patient's mobility. Patients with considerable usage will require a liquid oxygen system or a small lightweight cylinder with an oxygen-conserving device attached" [RCP, 1999; p.18].

Further in this report, the Working Party states:

> "The daily usage of ambulatory oxygen will vary, depending on an individual patient's mobility, and this will dictate the type of equipment required. Patients who require a greater use of ambulatory oxygen, e.g. more than 2 or 3 hours outside the house, may need a portable liquid-oxygen system or a portable cylinder with an attached oxygen-conserving device. Patients who need only occasional ambulatory oxygen or under 2 hours daily will require a small portable cylinder only" [RCP, 1999; p. 29].

The RCP report emphasizes the importance of a clinical assessment to determine the appropriate prescription and system for patients, and proposed standardized assessment forms for LTOT and ambulatory domiciliary oxygen that specify the type of device prescribed. The information collected on these forms would contribute to audit and research activities.

In the United Kingdom, the National Institute for Clinical Excellence [NICE, 2004] has recently published guidelines for managing COPD developed by the National Collaborating Centre for Chronic Conditions (NCC-CC). These guidelines include the following consensus statements regarding the use of portable oxygen, including liquid oxygen:

- Ambulatory oxygen therapy can be used as a way of ensuring that patients who require long term oxygen therapy and who leave the home on a regular basis receive oxygen for sufficient hours to gain the benefits of LTOT.
- Liquid oxygen is considerably more costly to provide for the patient. Liquid-oxygen portable systems can on average supply 8 hours of oxygen at 2 L/min,

2 Danielle St-Jules, personal communication

though they may be used in conjunction with oxygen-conserving devices. These liquid units must be filled from a large reservoir that is delivered to the patient's home. As liquid oxygen systems evaporate with time, the large home reservoir unit requires frequent filling or replacement.

- The technology for the provision of ambulatory oxygen is developing rapidly.

Recommendations that pertain to ambulatory and liquid oxygen (all Grade D) (see Appendix) are reproduced below (recommendations specific to the use of oxygen for exercise desaturation were excluded for this report):

R. 68: People who are already on LTOT who wish to continue oxygen therapy outside the home, and who are prepared to use it, should have ambulatory oxygen prescribed.

R. 71: Ambulatory oxygen therapy should be only prescribed after an appropriate assessment has been performed by a specialist.

R. 72: Small lightweight cylinders, oxygen-conserving devices and portable liquid oxygen systems should be available for the treatment of patients with COPD.

R. 73: A choice about the nature of equipment prescribed should take account of the hours of ambulatory oxygen use required by the patient and the oxygen flow rate required.

This last recommendation refers to a table in the report of appropriate equipment based on usage. Compressed gas cylinders are recommended for usage less than 90 minutes; compressed gas cylinders with OCD for duration of use between 90 minutes and 4 hours. Liquid oxygen is recommended for usage greater than 4 hours or flow rates greater than 2 L/min with duration greater than 30 minutes.

Aetna, a major North American health insurance company, has published a Clinical Policy Bulletin, *Oxygen for Home Use*, recommending that very lightweight portable oxygen systems (including liquid oxygen) would be "considered medically necessary for members who regularly go beyond the limits of a stationary oxygen delivery system with a 50-ft tubing for two hours or more per day and for most days of the week (minimum six hours/week)" [Aetna, 2004]. It is noted that individual benefit plans determine the actual coverage for members; routine monitoring is mandatory to requalify for coverage. As in the United Kingdom, the main criterion for prescribing lightweight systems is the patient's level of mobility. Although less specific, the US Department of Veteran Affairs guidelines for issuing respiratory equipment states that liquid oxygen systems are prescribed for "[…] ambulatory patients who can use an extensive amount of oxygen from portable sources" [Department of Veterans Affairs, 2000].

4.3 UTILIZATION AND ACCESS

Liquid oxygen therapy is routinely available in the United States and in parts of Europe for selected patients when it is considered necessary for mobility. A review of US Medicare beneficiaries using home oxygen in 1991-92 indicated that 19% of current users and 14% of new users had liquid oxygen; factors associated with liquid oxygen use included portable oxygen claims, metropolitan residence, white race, and age (more claims were coming from patients age 66 to 75 than from patients over 76 years) [Silverman et al., 1997]. Kacmarek [2000] reports that due to cost pressures within the system and decreasing reimbursement for home oxygen therapy by the government, the use of liquid oxygen in the United States has declined to less than 10% of patients on home oxygen.

In their review of five European countries, Garattini et al. [2001] found a wide variation in the organization of home oxygen therapy services (including delivery and supply) and

in the utilization of different types of oxygen equipment. The predominant source of home oxygen therapy was via concentrators or gas cylinders; liquid oxygen was used by 10% or less of home oxygen therapy patients in Germany and Denmark, and by about 25% of patients in France. The exception to this was Italy, where liquid oxygen was used for over 80% of patients [Garattini et al., 2001; Fauroux et al., 1994]. In the United Kingdom, liquid oxygen is not available through the National Health Services, but may be purchased by hospitals or privately by patients [Wedzicha, 1999].

Garattini et al. [2001] were able to collect some data about prices for liquid oxygen therapy in some countries. However, it is difficult to determine from the available information what is included in these prices, how the funds flow in the particular system, and therefore how to compare delivery systems within and between countries. In Italy, pharmacies are reimbursed at €4.65 per cubic metre for liquid vs. €5.58 per cubic metre for compressed gas; the lower rate for liquid oxygen may explain the higher utilization in Italy. In France, it was stated that the daily rate per patient for a concentrator was €8.70; the daily rate for liquid oxygen was €16.4. The Danish National Health Service reimburses around €11.41 per patient per day for liquid oxygen; no comparable information was available for other delivery systems.

The utilization of liquid oxygen is unknown in Canada, although it seems to vary across and within jurisdictions, and depends on patients' insurance coverage [AETMIS, 2004]. It is known that usage of liquid oxygen is higher in Ontario where it is covered by the provincial Home Oxygen Program, using standardized assessment forms and centralized application processes for approval, and where the market has evolved differently[3].

There is no routine data available about the cost or utilization of liquid oxygen in Québec. Information gathered from the key informant survey conducted for the AETMIS [2004] report on portable oxygen therapy indicated that, given the relatively higher cost, liquid oxygen is only available under the public system in Québec as a 'traitement d'exception' (e.g. in the case of patients who spend considerable amounts of time outside the home for employment or leisure activities, or those requiring high flow rates). This does not preclude patients from making private arrangements with suppliers for liquid oxygen—with or without private insurance coverage.

4.4 CLINICAL AND COST-EFFECTIVENESS

Three randomized controlled trials that met the inclusion criteria stated in section 3 provided information about the effectiveness of liquid oxygen therapy. A summary of these studies is presented in Table 2.

The study by Vergeret et al. [1989] demonstrated that patients with portable systems (liquid or gaseous oxygen) had longer daily duration of therapy than those with fixed systems, although there was no difference between liquid or gaseous oxygen. Although only 60% of patients with portable systems used them, the proportion of patients who never used them did not include any liquid oxygen users. The study by Lock et al. [1992] was very small and with a short evaluation timeframe, but found longer time periods spent outside the home associated with the use of portable liquid oxygen in comparison to gas systems. No benefits to quality of life were found using the assessment tool, although patients stated a preference for liquid oxygen due to its user-friendliness compared to gas delivery systems. A Swedish study reported results on costs and quality of life separately. It found liquid oxygen to be approximately four times as expensive as standard therapy and that there was limited evidence to the effect that liquid therapy improved patients' quality of life [Andersson et al., 1998].

3. Danielle St-Jules, Hôpital Maisonneuve-Rosemont, and Christel Galea, Ontario Home Oxygen Program, personal communications.

TABLE 2

Randomized controlled trials (RCT) including information about the effectiveness of liquid oxygen therapy

STUDY AND OBJECTIVES	METHODS	RESULTS
Andersson et al., 1998, Sweden To compare effects of liquid oxygen vs. standard system (concentrator plus portable gas) on quality of life, and costs.	Prospective RCT, multi-centre Cost-utility analysis *n*=51 patients with hypoxemia (47 with COPD) who were active outside the home Patients randomized to: ▪ liquid oxygen (*n*=29) ▪ standard treatment (*n*=22) No statistical difference amongst the comparison groups Patients followed for 6 months HR-QOL instruments: SIP, EuroQol	SIP indicated improved quality of life after 6 months for the liquid oxygen group; no improvement for the standard group. Changes in QoL using the EuroQol were less clear. Average total cost (health care services, oxygen, equipment) per patient for 6 months was US$1,310 for standard group; US$4,950 for liquid group.
Lock et al., 1992, UK To assess the use and acceptability of liquid vs. gaseous oxygen.	RCT; cross-over design *n*=15 (12 male); all patients with chronic lung disease with hypoxemia; all non-smokers; all with at least 10% improvement using standard portable oxygen assessment tool. 11 were on LTOT; 8 had portable systems prior to the study. Liquid and gas oxygen provided in random order for 2 x 8-week periods CRDIQ* instrument used to assess quality of life at 4 week intervals; 6-minute walking test performed at baseline, 8 and 16 weeks; patients used diaries to record use of portable system and concentrators, and time spent outdoors.	Walking distance was not affected by the weight of either system. Information from diaries was available from 13 patients. Patients used the liquid oxygen longer (avg. 23.5 hrs/wk) than gas (avg. 10 hrs/wk). Patients using liquid oxygen spent 19.5 hrs/wk on avg. outside the home, compared to 15.5 hrs/wk on avg. using gas. The CRDIQ did not show any consistent change during the study. 11 of 15 patients preferred the liquid oxygen because of duration, ease of carrying and filling.
Vergeret et al., 1989, France To evaluate effects of portable oxygen on daily duration of therapy, daily activities; assess advantages of gaseous or liquid oxygen.	RCT *n*=159 (139 males) patients with severe COPD with hypoxemia who already had a fixed oxygen system but did not already have portable oxygen Excluded: patients already using portable systems, severe co-morbidities Patients randomised to: ▪ oxygen concentrator (OC) (*n*=75) ▪ OC plus portable gas (*n*=51) ▪ liquid oxygen (*n*=33) No statistical difference between characteristics of the patients in the different arms of the study Patients followed for 1 year Assessment included baseline then quarterly clinical check-ups and monthly home visits. Interviewers collected quantitative and qualitative information, using non-standardized instruments, on duration of therapy, patients' activities and opinion about the therapy.	No clinical or functional differences between groups. Patients using portable systems had longer duration of therapy (17 hrs vs. 14); no difference between gas and liquid. Only 60% of patients with portable systems used them outside the home; 25% never used portable system (all had gas systems).

*CRDIQ: Chronic Respiratory Disease Index Questionnaire.

A Cochrane review of ambulatory oxygen (including all forms of portable oxygen systems) excluded the Vergeret and Lock studies given that they did not include placebo arms of the trial [Ram and Wedzicha, 2004]. The Andersson trial was not listed in the included or excluded studies. One previous RCT that investigated the effectiveness of liquid oxygen versus placebo (liquid air) was identified [Lilker, 1975] but not reviewed in this report given the date of the study and because it did not include any comparison with another delivery system. The Cochrane review included only one other RCT that did not involve liquid oxygen therapy [McDonald et al., 1995].

The first-ever placebo-controlled trial of portable oxygen therapy was recently conducted in Québec. Results have not yet been published[4], but preliminary findings were presented in November 2003 [Lacasse et al., 2003] for 22 of the 24 patients enrolled in the trial. Although the study design did not include liquid oxygen therapy, the results are important to the study of portable oxygen systems in general, but should be interpreted with caution given the small sample size and difficulties encountered with recruitment for the trial. The research team concluded that there is no justification for prescribing portable oxygen therapy routinely for oxygen-dependent patients with COPD since data indicates that portable systems do not improve quality of life and compliance with therapy.

A large prospective cohort study conducted in France [Pépin et al., 1996], including 10% of patients receiving LTOT chosen at random from 14 regional centres, found that 271 of the 893 patients (30%) on home oxygen therapy were prescribed portable systems (liquid or gas). Of these 271 patients, only 38 (14%) used oxygen outside the home, yet 37 of them had liquid oxygen systems. The criteria for prescribing either liquid or gas systems were not described in this paper.

To summarize, there is scant evidence that liquid oxygen systems contribute or not to enhanced daily duration of therapy and quality of life in comparison to gas or fixed systems. There is limited evidence that this technology is more user-friendly and has some technical advantages in comparison to compressed gas systems. These advantages are likely to be most beneficial to a select group of patients who are relatively active and compliant with therapy, although there are no agreed social or clinical indicators that would be reliable predictors of use or benefit.

4.5 PATIENT PERSPECTIVES

Some insight into the patient perspective on using liquid systems is available from a patient-run Web site[5]. Patient feedback on the different systems in the September newsletter included:

- liquid systems are less noisy than concentrators and do not generate any heat;
- concentrators require an electrical connection that costs patients between US$25 and $30 per month (as at September 2003); the added heat production may also increase hydro costs related to air conditioning during summer;
- compressed gas systems require about five times the number of delivery visits from the supplier to replenish the large and small cylinders versus liquid systems; liquid systems require deliveries every two to three weeks;
- under the Medicare fee schedule for some states (Florida was the example in the case recorded on the above Web site; price in US 2001 dollars), the co-payment for any system was the same: US$42.75 per month.

4.6 NEW DEVELOPMENTS

New systems of portable oxygen supply may in the future compete as alternatives to liquid oxygen therapy, although the implications for cost and/or effectiveness have not

4. According to Dr. Yves Lacasse, the trial is in the process of being published (personal communication)

5. www.portableoxygen.org / (accessed February 16, 2004)

been scientifically investigated in comparison to existing systems. This includes home concentrators that can refill gas and liquid cylinders, and portable concentrators [McCoy, 2001; Kacmarek, 2000]. It appears that a portable concentrator has been developed in Montreal that is being tested for clinical use [Bouchard, 2004].

5 CONCLUSION

There is very limited information about the effectiveness of liquid oxygen therapy in comparison to compressed gas delivery systems in terms of enhanced patient compliance, mobility, or quality of life. It is, however, clear that a small minority of patients with COPD on LTOT who have active lifestyles would likely benefit from the enhanced portability of liquid oxygen therapy. It could contribute to enhanced quality of life for particular patients even if this is supported by limited evidence from the published literature.

It is unlikely that further scientific evidence regarding cost-effectiveness will contribute to solve the dilemma of how to set policy for a service which may provide additional benefits but at a higher cost.

The identification of clinical and social indications or assessment criteria for the use of liquid oxygen therapy should be determined through a process of consensus amongst respirologists and decision-makers in Québec, within the context of developing overall guidelines for home oxygen programs.

6 IMPLICATIONS FOR POLICY, PRACTICE AND RESEARCH

As indicated in the broader review of portable oxygen therapy [AETMIS, 2004], it is highly unlikely that there will be further trials of portable oxygen therapy to help resolve the questions about appropriate indications and usage of liquid oxygen therapy. It would likely be more productive and practical to encourage a consensus-based approach amongst researchers, clinicians and decision-makers in order to identify the appropriate types of patients and conditions under which liquid oxygen should be prescribed and how it should be monitored, within the context of a home oxygen therapy program. There is some uncertainty, however, amongst professional providers about the extent to which the specification of criteria would be considered a priority, relative to other needs of this group, and helpful to clinical or policy decision-making.

APPENDIX : HIERARCHY OF EVIDENCE AND GRADING OF RECOMMENDATIONS

HIERARCHY OF EVIDENCE		GRADING OF RECOMMENDATIONS	
Level	**Type of evidence**	**Level**	**Type of evidence**
Ia	Evidence from systematic reviews or meta analysis of randomised controlled trials	A	Based on hierarchy I evidence
Ib	Evidence from at least one randomised controlled trial		
IIa	Evidence from at least one controlled study without randomisation	B	Based on hierarchy II evidence or extrapolated from hierarchy I evidence
IIb	Evidence from at least one other type of quasi experimental study		
III	Evidence from non experimental descriptive studies, such as comparative studies, correlation studies and case control studies	C	Based on hierarchy III evidence or extrapolated from hierarchy I or II evidence
IV	Evidence from expert committee reports or opinions and/or clinical experience of respected authorities	D	Directly based on hierarchy IV evidence or extrapolated from hierarchy I, II or III evidence
NICE	Evidence from NICE guidelines or Health Technology Appraisal programme	NICE	Evidence from NICE guidelines or Health Technology Appraisal programme
HSC	Evidence from Health Service Circulars	HSC	Evidence from Health Service Circulars

Source: National Institute for Clinical Excellence (NICE). Chronic obstructive pulmonary disease: Management of chronic obstructive pulmonary disease in adults in primary and secondary care. Thorax 2004; 59(Suppl 1):13.

REFERENCES

Aetna. Oxygen for home use. Clinical Policy Bulletins no. 0002. Hartford, CT: Aetna; 2004. Available: http://www.aetna.com/cpb/data/CPBA0002.html (accessed April 1, 2004).

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS). Hospital technology at home: portable oxygen therapy in COPD. Report prepared by Susan Law and Pascale Lehoux (AETMIS 04-03). Montreal: AETMIS; 2004: xvii-82 p.

Andersson A, Ström K, Brodin H, Alton M, Boman G, Jakobsson P, et al. Domiciliary liquid oxygen versus concentrator treatment in chronic hypoxaemia: a cost-utility analysis. Eur Respir J 1998; 12(6):1284-9.

Bouchard A. Un singulier malade expert-conseil. Montreal: La Presse, March 14, 2004, Actuel Santé section:1-2.

Comité d'oxygénothérapie à domicile. Les nouvelles recommandations pour l'oxygénothérapie à domicile. Le Clinicien 2000;15(2):116-34.

Department of Veteran Affairs. Home respiratory care program. VHA Handbook 1173.13. Transmittal sheet, November 1, 2000. Washington, DC: DVA; 2000.

Fauroux B, Howard P, Muir JF. Home treatment for chronic respiratory insufficiency: the situation in Europe in 1992. Eur Respir J 1994;7(9):1721-6.

Garattini L, Cornago D, Tediosi F. A comparative analysis of domiciliary oxygen therapy in five European countries. Health Policy 2001;58(2):133-49.

Global Initiative for Chronic Obstructive Lung Disease (GOLD). Global strategy for the diagnosis, management, and prevention of chronic obstructive pulmonary disease. Executive summary, NHLBI/WHO workshop report, 1998. Bethesda, MD: NHLBI; 2001.

Kacmarek RM. Delivery systems for long-term oxygen therapy. Respir Care 2000;45(1):84-94.

Lacasse Y, Lecours R, Pelletier C, Bégin R, Maltais F. Oxygène de déambulation chez les MPOC oxygéno-dépendants: essai clinique randomisé. Annual meeting, Association des pneumologues de la province de Québec and Réseau en santé respiratoire du FRSQ. Québec, November 14-15, 2003.

Lilker ES, Karnick A, Lerner L. Portable oxygen in chronic obstructive lung disease with hypoxemia and cor pulmonale. A controlled double-blind crossover study. Chest 1975; 68(2):236-41.

Lock SH, Blower G, Prynne M, Wedzicha JA. Comparison of liquid and gaseous oxygen for domiciliary portable use. Thorax 1992;47(2):98-100.

McCoy R. Oxygen therapy devices. Los Angeles, CA : RT; October/November 2001. Available: http://www.rtmagazine.com/articles.ASP?ArticleId=R0112A03 (accessed February 18, 2004).

McDonald CF, Blyth CM, Lazarus MD, Marschner I, Barter CE. Exertional oxygen of limited benefit in patients with chronic obstructive pulmonary disease and mild hypoxemia. Am J Respir Crit Care Med 1995;152(5 Pt 1):1616-9.

Medical Research Council (MRC) Working Party. Long-term domiciliary oxygen therapy in chronic hypoxic cor pulmonale complicating chronic bronchitis and emphysema. Lancet 1981;1(8222):681-6.

National Institute for Clinical Excellence (NICE), developed by the National Collaborating Center for Chronic Conditions (NCC-CC). Chronic obstructive pulmonary disease: Management of chronic obstructive pulmonary disease in adults in primary and secondary care. Clinical guideline 12. London, UK: NICE; February 2004. Available: www.nice.org.uk/pdf/CG012_niceguideline.pdf (accessed August 27, 2004). Also published in: Thorax 2004;59(suppl 1):1-232.

Nocturnal Oxygen Therapy Trial (NOTT) Group. Continuous or nocturnal oxygen therapy in hypoxemic chronic obstructive lung disease—a clinical trial. Ann Intern Med 1980; 93(3):391-8.

Pépin J-L, Barjhoux CE, Deschaux C, Brambilla C, ANTADIR Working Group on Oxygen Therapy. Long-term oxygen therapy at home: compliance with medical prescription and effective use of therapy. Chest 1996;109(5):1144-50.

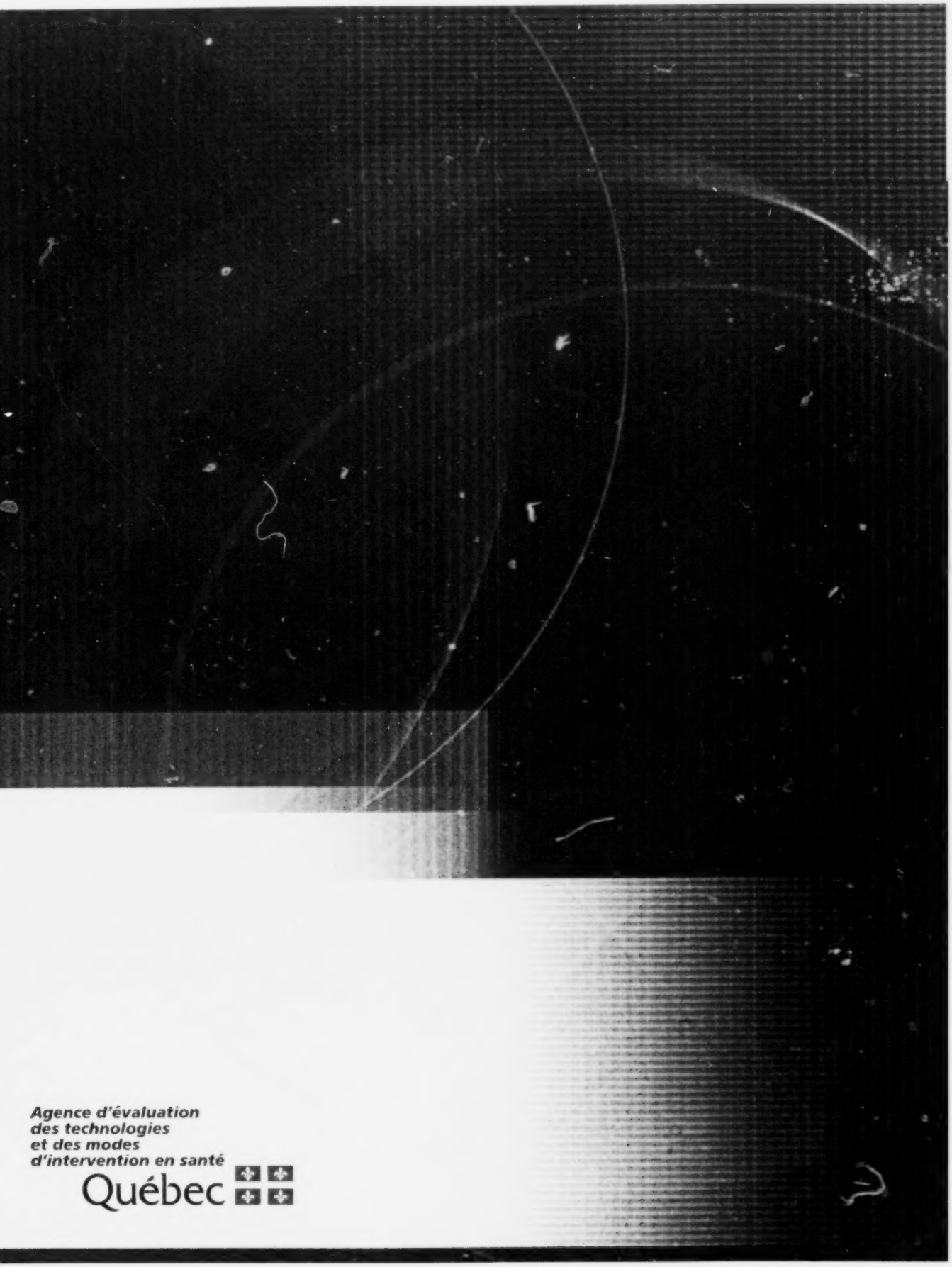
Ram FSF, Wedzicha JA. Ambulatory oxygen for chronic obstructive pulmonary disease (Cochrane Review). In: The Cochrane Library, Issue 1, 2004. Chichester, UK: John Wiley & Sons; 2004.

Royal College of Physicians (RCP). Domiciliary oxygen therapy services: Clinical guidelines and advice for prescribers. Report of a working party. London, England: RCP; 1999.

Silverman B, Gross T, Babish JD. Home oxygen therapy in Medicare beneficiaries, 1991 and 1992. Chest 1997;112(2):380-6.

Vergeret J, Brambilla C, Mounier L. Portable oxygen therapy: use and benefit in hypoxaemic COPD patients on long-term oxygen therapy. Eur Respir J 1989;2(1):20-5.

Wedzicha JA. Domiciliary oxygen therapy services: clinical guidelines and advice for prescribers. Summary of a report by the Royal College of Physicians. J R Coll Physicians Lond 1999;33(5):445-7.

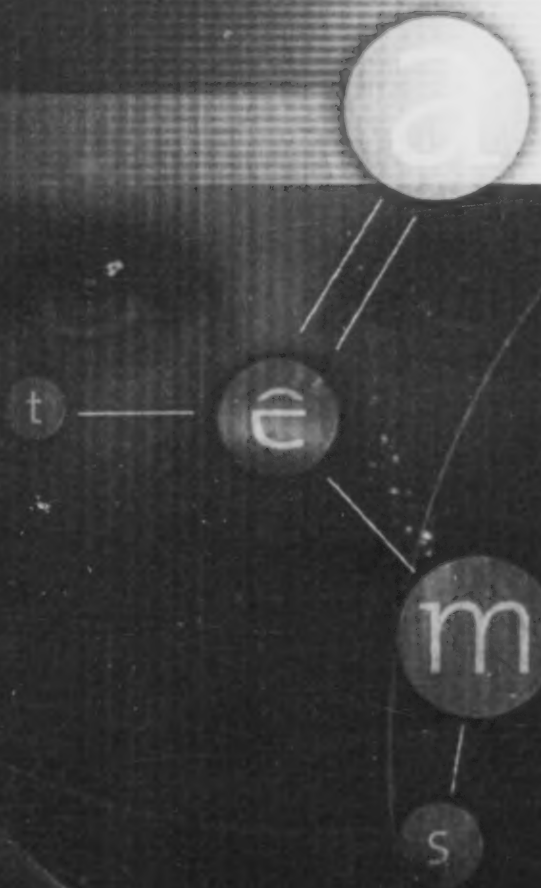


Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé

Québec

Oxygénothérapie à domicile

Les appareils à oxygène liquide



AGENCE D'ÉVALUATION DES TECHNOLOGIES
ET DES MODES D'INTERVENTION EN SANTÉ

Québec

105-06671/

Oxygénothérapie à domicile

Les appareils à oxygène liquide

Rapport préparé pour l'AETMIS
par Susan Law

Janvier 2005

Agence d'évaluation
des technologies
et des modes
d'intervention en santé
Québec

Le contenu de cette publication a été rédigé et édité par l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS). Ce document, ainsi que la version originale anglaise, intitulée *Liquid Oxygen Therapy at Home*, sont également offerts en format PDF sur le site Web de l'Agence.

Révision scientifique
Alicia Framarin, m.d., M. Sc., conseillère scientifique

Traduction
Brigitte Tremel, traductrice agréée

Révision linguistique
Suzie Toutant

Montage
Jocelyne Guillot
Frédérique Stephan

Correction d'épreuves
Suzie Toutant
Frédérique Stephan

Vérification bibliographique
Mathieu D'Amours

Coordination
Lise-Ann Davignon

Communications et diffusion
Richard Lavoie, M.A. (communication)

Pour se renseigner sur cette publication ou toute autre activité de l'AETMIS, s'adresser à :

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé
2021, avenue Union, bureau 1050
Montréal (Québec) H3A 2S9

Téléphone : (514) 873-2563
Télécopieur : (514) 873-1369
Courriel : aetmis@aetmis.gouv.qc.ca
www.aetmis.gouv.qc.ca

Comment citer ce document :

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS). Oxygénothérapie à domicile : les appareils à oxygène liquide. Rapport préparé par Susan Law. (AETMIS 04-08). Montréal : AETMIS, 2005, vii-14 p.

Dépôt légal
Bibliothèque nationale du Québec, 2005
Bibliothèque nationale du Canada, 2005
ISBN 2-550-43751-9

© Gouvernement du Québec, 2005.

La reproduction totale ou partielle de ce document est autorisée, à condition que la source soit mentionnée.

LA MISSION

L'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS) a pour mission de contribuer à améliorer le système de santé québécois et de participer à la mise en œuvre de la politique scientifique du gouvernement du Québec. Pour ce faire, l'Agence conseille et appuie le ministre de la Santé et des Services sociaux ainsi que les décideurs du système de santé en matière d'évaluation des services et des technologies de la santé. L'Agence émet des avis basés sur des rapports scientifiques évaluant l'introduction, la diffusion et l'utilisation des technologies de la santé, incluant les aides techniques pour personnes handicapées, ainsi que les modalités de prestation et d'organisation des services. Les évaluations tiennent compte de multiples facteurs, dont l'efficacité, la sécurité et l'efficience ainsi que les enjeux éthiques, sociaux, organisationnels et économiques.

LA DIRECTION

Dr Luc Deschênes,
chirurgien oncologue, président-directeur général de l'AETMIS, Montréal, et président du Conseil médical du Québec, Québec

Dr Véronique Déry,
médecin spécialiste en santé publique, directrice générale et scientifique

M. Jean-Marie R. Lance,
économiste, conseiller scientifique principal

Dr Alicia Framarin,
médecin, conseillère scientifique

LE CONSEIL

Dr Jeffrey Barkun,
professeur agrégé, département de chirurgie, Faculté de médecine, Université McGill, et chirurgien, Hôpital Royal Victoria, CUSM, Montréal

Dr Marie-Dominique Beaulieu,
médecin en médecine familiale, titulaire de la Chaire Docteur Sadok Besrour en médecine familiale, CHUM, et chercheur, Unité de recherche évaluative, Pavillon Notre-Dame, CHUM, Montréal

Dr Suzanne Claveau,
médecin en microbiologie-infectiologie, Pavillon L'Hôtel-Dieu de Québec, CHUQ, Québec

M. Roger Jacob,
ingénieur biomédical, coordonnateur, Services des immobilisations, Agence de développement de réseaux locaux de services de santé et de services sociaux de Montréal, Montréal

Mme Denise Leclerc,
pharmacienne, membre du Conseil d'administration de l'Institut universitaire de gériatrie de Montréal, Montréal

Mme Louise Montreuil,
directrice générale adjointe aux ententes de gestion, Direction générale de la coordination ministérielle des relations avec le réseau, ministère de la Santé et des Services sociaux, Québec

Dr Jean-Marie Moutquin,
médecin spécialiste en gynéco-obstétrique, directeur scientifique, Centre de recherche clinique, CHUS, Sherbrooke

Dr Réginald Nadeau,
médecin spécialiste en cardiologie, Hôpital du Sacré-Cœur, Montréal, et membre du Conseil d'administration du Conseil du médicament du Québec, Québec

M. Guy Rocher,
sociologue, professeur titulaire, département de sociologie, et chercheur, Centre de recherche en droit public, Université de Montréal, Montréal

M. Lee Soderstrom,
économiste, professeur, département des sciences économiques, Université McGill, Montréal

AVANT-PROPOS

Les avantages de l'oxygénothérapie de longue durée pour les personnes souffrant d'une maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC) sont démontrés, et ses indications cliniques font l'objet d'un consensus international. Il y a toutefois peu de données et de directives sur l'utilisation des appareils portatifs d'oxygénothérapie (à oxygène liquide ou gazeux) à domicile dans le cadre d'une oxygénothérapie de longue durée.

À la suite de la publication récente d'un rapport de l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS) sur l'oxygénothérapie à domicile, le ministère de la Santé et des Services sociaux du Québec lui a demandé d'examiner les données scientifiques disponibles sur les coûts et les avantages des appareils à oxygène liquide ainsi que sur les implications de l'accès à cette technologie pour le programme d'oxygénothérapie à domicile du Québec.

Les appareils à oxygène liquide conçus pour un usage à domicile ont été lancés dans les années 1980 afin d'offrir aux patients qui souhaitaient avoir des activités à l'extérieur de leur domicile un dispositif plus petit et plus léger capable de fournir de l'oxygène pour une période plus longue que les autres appareils d'oxygénothérapie. L'utilisation des appareils à oxygène liquide et l'organisation des services à domicile varient énormément d'un pays à l'autre et d'une région à l'autre. Dans ce domaine, la technologie évolue à un rythme rapide, mais il y a peu d'études sur les avantages particuliers qu'elle offre aux patients. Il n'y a pas suffisamment de données prouvant que les appareils à oxygène liquide contribuent plus à améliorer la durée et la qualité de vie que les autres appareils d'oxygénothérapie, mais il existe des données indiquant que cette technologie offre certains avantages au chapitre de la facilité d'emploi. Des lignes directrices sur l'utilisation de cette technologie publiées récemment au Royaume-Uni et aux États-Unis proposent des critères de prescription liés à la mobilité du patient, à l'usage qu'il en fait et à son observance thérapeutique.

Il n'y a pas de registre sur les coûts et le taux d'utilisation des appareils à oxygène liquide au Québec, bien que l'on sache que, à cause de leur coût relativement plus élevé et des doutes qui planent sur la plus-value de leur efficacité clinique, ils y sont rarement prescrits, étant considérés comme un « traitement d'exception ». Ils sont plus souvent prescrits en Ontario, où ils sont couverts par le programme provincial d'oxygénothérapie à domicile. Cette technologie offrirait vraisemblablement certains avantages à des patients très actifs, mais il faudrait que les cliniciens et les décideurs du Québec définissent des critères cliniques et sociaux d'évaluation et de suivi dans le cadre d'un programme global d'oxygénothérapie à domicile.

En remettant ce rapport, l'AETMIS souhaite contribuer à une prise de décision éclairée sur les politiques et les pratiques relatives à l'utilisation à domicile des appareils à oxygène liquide fondée sur des données probantes.

Dr Luc Deschênes
Président-directeur général

REMERCIEMENTS

Le présent rapport a été préparé par **Susan Law**, M. Sc. (sciences de la santé), chercheure consultante, à la demande de l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS).

Les personnes suivantes ont grandement contribué à la préparation de ce rapport en fournissant soutien, information et conseils clés :

LECTEURS EXTERNES

Dr Yves Lacasse
Pneumologue, Centre de pneumologie, Hôpital Laval, Québec

Mme Danielle St-Jules
Infirmière, chef du service régional de soins à domicile, Hôpital Maisonneuve-Rosemont, Montréal

SPÉCIALISTES DE L'INFORMATION À L'AETMIS

Pierre Vincent
Micheline Paquin

DIVULGATION DE CONFLITS D'INTÉRÊTS

Aucun conflit à signaler.

RÉSUMÉ

INTRODUCTION

Les avantages de l'oxygénothérapie de longue durée pour les personnes souffrant d'une maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC) sont démontrés. Les appareils portatifs d'oxygénothérapie ont fait l'objet d'une évaluation de l'AETMIS publiée en 2004. Ces appareils, conçus pour offrir une source d'oxygène aux patients ayant des activités à l'extérieur de la maison, comprennent trois types de systèmes : à gaz comprimé, à oxygène liquide, et concentrateurs d'oxygène. Le présent rapport, préparé à la demande du ministère de la Santé et des Services sociaux du Québec, examine la littérature scientifique disponible sur les indications, l'efficacité clinique et le rapport coût-efficacité du traitement par oxygène liquide ainsi que sur ses modalités organisationnelles et d'accès.

MÉTHODE DE RECHERCHE

Une revue de la littérature scientifique a été effectuée à partir de différentes bases de données, dont celles d'agences d'évaluation des technologies et du réseau international des organismes d'évaluation des technologies. D'autres documents et rapports gouvernementaux ont été également consultés.

RÉSULTATS

Il n'y a pas d'études publiées sur les indications cliniques de l'usage des appareils à oxygène liquide à domicile, mais les lignes directrices disponibles basent principalement les indications de prescription sur la mobilité du patient et le degré d'utilisation de l'appareil. Les appareils à oxygène liquide, plus légers, sont recommandés pour les patients qui ont besoin d'une oxygénothérapie de longue durée et qui doivent sortir régulièrement de leur domicile.

Il n'y a pas de données indiquant si les appareils à oxygène liquide permettent ou non de prolonger la durée quotidienne de traitement et d'améliorer la qualité de vie des patients comparativement aux autres systèmes d'oxygénothérapie (portatifs ou fixes). Par ailleurs, les preuves indiquant que cette technologie est plus conviviale et offre plus d'avantages techniques que les systèmes à gaz comprimé sont minces. Un étude suédoise indique que le coût du traitement par oxygène liquide est quatre fois plus élevé que celui du traitement standard (concentrateur et bouteille portative). L'utilisation des appareils à oxygène liquide et l'accessibilité à ce traitement varient d'un pays à l'autre et d'une région à l'autre, et dépendent de la couverture des régimes d'assurance des patients. Au Canada, les appareils à oxygène liquide sont davantage utilisés en Ontario, où ils sont couverts par le programme provincial d'oxygénothérapie à domicile. Au Québec, à cause de leur coût relativement élevé et des doutes qui planent sur la plus-value de leur efficacité clinique, les appareils à oxygène liquide ne sont offerts dans le cadre du programme public que comme « traitement d'exception » à des patients qui passent beaucoup de temps hors de la maison pour leur travail ou leurs loisirs ou qui ont besoin de débits élevés. Les patients qui souhaitent utiliser ces appareils peuvent toutefois s'en procurer en s'adressant directement aux fournisseurs.

De nouveaux systèmes portatifs d'oxygénothérapie, comme le concentrateur portatif mis au point à Montréal, qui ferait l'objet d'essais cliniques à l'heure actuelle, pourraient offrir des solutions de rechange intéressantes aux appareils à oxygène liquide.

CONCLUSION

Il y a très peu d'informations sur l'efficacité pratique des appareils à oxygène liquide comparativement aux appareils à gaz comprimé au chapitre de l'amélioration de l'observance thérapeutique, de la mobilité et de la qualité de vie. Une petite minorité de patients atteints de MPOC sous oxygénothérapie de longue

durée qui mènent une vie active pourraient profiter de la portabilité accrue qu'offrent les appareils à oxygène liquide. Il faudrait définir des indications cliniques et sociales ou des critères d'évaluation du traitement par oxygène liquide par un processus de concertation entre les pneumologues et les décideurs du Québec, et ce, dans le cadre de lignes directrices globales sur les programmes d'oxygénothérapie à domicile.

TABLE DES MATIÈRES

LA MISSION i
AVANT-PROPOS iii
REMERCIEMENTS iv
RÉSUMÉ v
1 INTRODUCTION 1
2 QUESTIONS DE RECHERCHE 2
3 MÉTHODE DE RECHERCHE 2
4 RÉSULTATS 3
4.1 Évolution des systèmes à oxygène liquide 3
4.2 Indications 4
4.3 Utilisation et accessibilité 6
4.4 Efficacité clinique et efficience 7
4.5 Perspective des patients 9
4.6 Évolution de la technologie 10
5 CONCLUSION 11
6 RÉPERCUSSIONS SUR LES POLITIQUES, LA PRATIQUE ET LA RECHERCHE 11
ANNEXE : HIÉRARCHIE DES NIVEAUX DE PREUVE ET NIVEAUX DE RECOMMANDATION 12
RÉFÉRENCES 13

LISTE DES TABLEAUX

Tableau 1 Comparaison des appareils portatifs d'oxygénothérapie 3
Tableau 2 Essais contrôlés randomisés sur l'efficacité pratique du traitement par oxygène liquide 8

1 INTRODUCTION

Les avantages de l'oxygénothérapie de longue durée pour les personnes souffrant d'une maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC) sont démontrés [MRC Working Party, 1981; NOTT Group, 1980], et ses indications cliniques font l'objet d'un consensus à l'échelle internationale [GOLD, 2001]. Mais si ces indications semblent avoir été adoptées universellement, elles ne sont toutefois pas assorties de critères de prescription d'appareils portatifs ou ambulatoires d'oxygénothérapie. L'utilisation de ces appareils (à oxygène gazeux ou liquide) dans le cadre d'une oxygénothérapie de longue durée varie énormément d'un pays à l'autre et d'une région à l'autre. Ces variations s'expliquent probablement par un certain nombre de facteurs, notamment :

- les données sur l'efficacité clinique et le rapport coût-efficacité de ces appareils sont fragmentaires;
- il n'y a pas de mesures adéquates de suivi et de contrôle permettant de recueillir des données sur le taux d'utilisation de ces technologies;
- les problèmes d'observance thérapeutique des patients ainsi que la méconnaissance des critères de prescription des professionnels de la santé ne sont toujours pas résolus.

Les appareils à oxygène liquide conçus pour un usage à domicile ont été lancés dans les années 1980 afin de procurer aux patients ayant des activités à l'extérieur de la maison une source d'oxygène plus légère et offrant une plus grande autonomie d'utilisation que les appareils à gaz comprimé. Les appareils à oxygène liquide coûtent cependant plus cher et, comme pour tous les systèmes portatifs, leurs critères d'utilisation et de prescription ne font l'objet d'aucun consensus.

Au Québec, comme ailleurs dans le monde, aucune politique claire n'a encore été élaborée sur l'utilisation des appareils à oxygène liquide dans le cadre d'un programme d'oxygénothérapie à domicile. Des recommandations sur l'usage de l'oxygénothérapie à domicile ont été publiées au Québec [Comité d'oxygénothérapie à domicile, 2000] pour le traitement de la MPOC et d'autres indications conformes aux critères internationaux, mais elles ne contiennent aucun critère de prescription des appareils portatifs. Les patients ayant besoin d'une oxygénothérapie de longue durée à domicile, surtout ceux qui sont atteints de MPOC, utilisent pour la plupart un concentrateur fixe. Le sujet des appareils portatifs d'oxygénothérapie a été traité dans un rapport de l'AETMIS [2004]. On y constatait que l'accès aux appareils portatifs d'oxygénothérapie, toutes catégories confondues, variait d'une région à l'autre au Québec, mais il n'y a pas eu de section consacrée expressément aux appareils à oxygène liquide.

En octobre 2003, le ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS) du Québec demandait à l'AETMIS de procéder à une évaluation des coûts et des avantages des appareils à oxygène liquide dans le cadre du programme d'oxygénothérapie de longue durée à domicile et, plus précisément, de ses bienfaits potentiels pour les patients ainsi que des implications de l'accès à cette technologie sur le coût et l'organisation des services d'oxygénothérapie à domicile au Québec.

Ce rapport présente les résultats d'une recension de la littérature scientifique sur l'utilisation et les avantages du traitement par oxygène liquide.

2 QUESTIONS DE RECHERCHE

1) Qu'est-ce que le traitement par oxygène liquide ? Quand les appareils à oxygène liquide ont-ils été créés et comment ont-ils évolué ?

2) Quelles sont les données existantes sur l'efficacité clinique et le rapport coût-efficacité du traitement par oxygène liquide – y compris ses répercussions sur la qualité de vie et son innocuité – par rapport aux systèmes fixes et aux appareils à oxygène gazeux ?

3) Comment les services sont-ils organisés et dispensés ? De quelles informations disposons-nous sur les taux d'utilisation de cette technologie et ses modalités d'accès au Québec et ailleurs ?

3 MÉTHODE DE RECHERCHE

La recherche a été effectuée à partir des bases de données suivantes : MEDLINE (de 1980 jusqu'au 29 janvier 2004); EMBASE (de 1980 jusqu'au 29 janvier 2004); *Cochrane Library*, n° 1, 2004; documents et rapports gouvernementaux (littérature grise); bases de données d'agences d'évaluation des technologies de la santé et du réseau international des organismes d'évaluation des technologies de la santé (INAHTA : *International Network of Agencies for Health Technology Assessment*); et recherche dans le Web.

La recherche a été menée à l'aide des mots clés suivants : "liquid oxygen", "liquid oxygen therapy", "portable" OU "ambulatory", "COPD", "RCT" ET "organization". Pour la recherche dans les bases de données MEDLINE et EMBASE, l'énoncé de recherche a été "(liquid(w)oxygen AND oxygen(2w)therap?)/human".

Tous les articles et documents retenus pour ce rapport devaient répondre aux critères suivants :

- traitement par oxygène liquide dans le cadre d'une oxygénothérapie de longue durée;
- groupes à l'étude incluant des patients atteints de MPOC sous oxygénothérapie de longue durée;
- traitement administré à domicile.

Pour les questions n^{os} 1 et 3, portant sur la définition du traitement par oxygène liquide, son taux d'utilisation et l'organisation des services, les articles ont été sélectionnés pour recension en fonction des critères suivants :

- description de l'utilisation des appareils à oxygène liquide, de l'organisation et de la prestation des services;
- comparaisons internationales;
- articles de synthèse.

Pour la question n° 2, portant sur l'efficacité clinique et le rapport coût-efficacité du traitement par oxygène liquide, les articles choisis devaient répondre aux critères suivants :

- études comparant les appareils à oxygène liquide aux appareils à gaz comprimé et (ou) aux systèmes fixes;
- essais contrôlés randomisés (ECR) ou études observationnelles comparant le traitement par oxygène liquide au traitement par oxygène gazeux ou à un placebo.

4 RÉSULTATS

4.1 ÉVOLUTION DES SYSTÈMES À OXYGÈNE LIQUIDE

Les systèmes à oxygène liquide conservent de l'oxygène pur sous forme liquide à une température de - 297,3 degrés Fahrenheit (- 183 °C). Des systèmes à oxygène liquide destinés aux hôpitaux ont été lancés dans les années 1900, mais ce n'est que dans les années 1960 et 1970 que des systèmes pouvant être utilisés en dehors des hôpitaux ont vu le jour [Kacmarek, 2000]. L'usage d'appareils à oxygène liquide à domicile s'est répandu en raison de la commodité de leur format : 1 litre d'oxygène liquide équivaut à 840 litres d'oxygène gazeux et occupe environ 10 % de l'espace nécessaire pour loger des réservoirs d'oxygène sous forme de gaz comprimé. Les appareils à oxygène liquide employés à domicile comportent un grand réservoir fixe (environ 40 L d'oxygène) s'accompagnant d'une bouteille portative. Les bouteilles portatives peuvent être remplies à même le réservoir par des patients ayant reçu une formation adéquate. À un débit de 2 L/minute, 24 heures par jour, ce réservoir peut fournir de l'oxygène pendant environ 11 jours. À ce débit, le réservoir doit généralement être rempli tous les 10 à 14 jours par un fournisseur. Les bouteilles portatives d'oxygène liquide peuvent avoir une autonomie jusqu'à quatre fois plus longue que les bouteilles portatives de gaz comprimé, et encore davantage si elles sont équipées d'un économiseur d'oxygène.

Les appareils à oxygène liquide portatifs offrent l'avantage d'être plus petits et plus légers, ce qui permet aux patients de rester plus longtemps à l'extérieur de la maison. Les économiseurs d'oxygène fixés aux appareils portatifs laissent passer de l'oxygène à l'inspiration seulement, ce qui accroît la durée d'utilisation. Lorsque ces économiseurs sont fixés sur une bouteille de gaz comprimé, leur autonomie est équivalente à celle des appareils à oxygène liquide, selon le débit et le type de système [Royal College of Physicians, 1999]. Le tableau 1 compare les trois types d'appareils d'oxygénothérapie utilisés à domicile.

TABLEAU 1

Comparaison des appareils portatifs d'oxygénothérapie

SYSTÈME	POIDS	PÉRIODE MAXIMALE D'UTILISATION (À UN DÉBIT DE 2 L/MINUTE) POUR USAGE AMBULATOIRE
À gaz comprimé		
Bouteille en aluminium de format E (680 litres)	7,5 lb	5 h
Bouteille de format M6 (140 litres)	ND	2 h; de 4 à 6 h avec un économiseur d'oxygène
À oxygène liquide (bouteille de 1 litre : 840 litres de gaz)	De 3,5 à 7 lb	De 3 à 4 h; de 7 à 10 h avec un économiseur d'oxygène
Concentrateur (petit appareil portatif)	10 lb	Selon le type de pile (par ex., 50 minutes)

Source : adaptation de McCoy, 2001, et de Kacmarek, 2000.
ND : données non disponibles.

M[me] Danielle St-Jules, chef du service régional de soins à domicile de l'Hôpital Maisonneuve-Rosemont, a fourni d'autres renseignements pour compléter ceux qu'ont fournis les publications citées au tableau 1[1] : il est maintenant possible d'installer un économiseur d'oxygène sur une bouteille de format E; en pratique, une bouteille de format M6 ne dure que 1,4 heure sans économiseur d'oxygène; les patients doivent emporter deux ou trois piles de rechange lorsqu'ils se servent des concentrateurs portatifs, puisque l'autonomie de la pile n'est que de 50 minutes environ.

Comme avec tout appareil d'oxygénothérapie à domicile, il y a risque d'incendie et de brûlures si l'oxygène est exposé à une flamme nue. Les risques propres aux appareils à oxygène liquide sont, notamment, les gelures lors du remplissage de la bouteille portative si l'oxygène liquide entre en contact avec la peau – bien que cette éventualité soit peu probable[2] –, mais la littérature scientifique est avare de données sur la fréquence et le nombre de gelures accidentelles; l'unité peut geler pendant le remplissage et cesser de fonctionner. Les autres désavantages importants liés à l'usage des appareils à oxygène liquide sont les très grandes dimensions du réservoir, qui prend beaucoup de place dans la maison, et l'évaporation de l'oxygène hors des bouteilles et du réservoir avec le temps, ce qui nécessite des remplissages fréquents.

4.2 INDICATIONS

Il n'y a pas de publications sur les indications cliniques de l'usage des appareils à oxygène liquide à domicile. Des indications de prescription d'appareils portatifs axées principalement sur la mobilité du patient et le degré d'utilisation de l'appareil ont récemment été publiées au Royaume-Uni et aux États-Unis.

En 1999, un groupe de travail du *Royal College of Physicians* du Royaume-Uni a publié des lignes directrices sur l'oxygénothérapie à domicile qui contenaient l'énoncé suivant sur les appareils portatifs d'oxygénothérapie :

> « L'oxygénothérapie ambulatoire est indiquée pour les patients sous oxygénothérapie de longue durée qui sont mobiles et qui doivent, ou peuvent, sortir régulièrement de leur domicile. Le type d'unité portative offert dépendra de la mobilité du patient. Les patients qui se déplacent beaucoup auront besoin d'un appareil à oxygène liquide ou d'une petite bouteille légère équipée d'un économiseur d'oxygène » [*trad.*] [Royal College of Physicians, 1999; p. 18].

Plus loin, le même rapport mentionne que :

> « L'usage quotidien des appareils d'oxygénothérapie ambulatoire varie en fonction de la mobilité de chaque patient, et c'est cet usage qui déterminera le type d'appareil nécessaire. Les patients qui utilisent plus d'oxygène en mode ambulatoire, c'est-à-dire ceux qui passent plus de deux ou trois heures à l'extérieur de la maison, peuvent avoir besoin d'un appareil portatif à oxygène liquide ou d'une bouteille légère équipée d'un économiseur d'oxygène. Une petite bouteille portative sera suffisante pour les patients qui n'ont besoin d'oxygénothérapie ambulatoire que de temps en temps ou moins de deux heures par jour » [*trad.*] [Royal College of Physicians, 1999; p. 29].

Le rapport du *Royal College of Physicians* souligne l'importance d'une évaluation clinique pour prescrire l'appareil approprié et propose l'emploi de formulaires d'évaluation standardisés des besoins en oxygénothérapie de longue durée et en oxygénothérapie ambulatoire à domicile dans lesquels serait précisé le type d'appareil prescrit. Les données recueillies au moyen de ces formulaires pourraient faciliter l'audit et la recherche.

Le *National Institute for Clinical Excellence* [NICE, 2004] du Royaume-Uni vient tout juste de publier les lignes directrices sur la prise en charge de la MPOC réalisées par le *National Collaborating Centre for Chronic*

1. Communication personnelle, 6 mai 2004.
2. Danielle St-Jules, communication personnelle.

Conditions (NCC-CC). Ces lignes directrices comprennent notamment les protocoles d'accord suivants sur l'usage des appareils portatifs d'oxygénothérapie, dont les appareils à oxygène liquide :

- L'oxygénothérapie ambulatoire peut être utilisée pour permettre aux patients qui ont besoin d'une oxygénothérapie de longue durée et qui doivent sortir régulièrement de leur domicile de recevoir de l'oxygène pendant un nombre d'heures suffisant pour profiter des bienfaits de l'oxygénothérapie de longue durée.
- L'oxygène liquide coûte beaucoup plus cher. Les appareils portatifs à oxygène liquide ont une autonomie moyenne de huit heures à un débit de 2 L/minute lorsqu'ils sont équipés d'un économiseur d'oxygène. Ces appareils à oxygène liquide doivent être remplis à même un grand réservoir installé au domicile du patient. Puisque l'oxygène liquide s'évapore avec le temps, ce grand réservoir doit souvent être rempli ou remplacé.
- Les technologies d'oxygénothérapie ambulatoire évoluent rapidement [*trad.*].

Les recommandations du NICE relatives aux dispositifs ambulatoires et aux appareils à oxygène liquide (toutes de niveau D) (voir l'annexe) sont reproduites ci-dessous (les recommandations portant expressément sur l'oxygénothérapie dans les cas de désaturation à l'effort ont été exclues) :

R. 68 : Des appareils d'oxygénothérapie ambulatoire devraient être prescrits aux personnes déjà sous oxygénothérapie de longue durée qui souhaitent poursuivre leur traitement à l'extérieur de la maison et qui ont reçu la formation nécessaire pour les utiliser.

R. 71 : L'oxygénothérapie ambulatoire ne devrait être prescrite qu'après évaluation appropriée d'un spécialiste.

R. 72 : Les petites bouteilles légères, les économiseurs d'oxygène et les appareils à oxygène liquide portatifs devraient faire partie de l'arsenal thérapeutique offert aux patients atteints de MPOC.

R. 73 : La décision concernant la nature de l'appareil prescrit devrait tenir compte du nombre d'heures pendant lesquelles le patient a besoin d'une oxygénothérapie ambulatoire et du débit dont il a besoin.

Cette dernière recommandation renvoie à un tableau fourni dans le rapport pour orienter le choix du matériel approprié en fonction de l'usage. Les bouteilles de gaz comprimé sont recommandées pour une période d'utilisation de moins de 90 minutes; les bouteilles de gaz comprimé équipées d'un économiseur d'oxygène sont recommandées pour des périodes d'utilisation allant de 90 minutes à 4 heures. Les appareils à oxygène liquide sont recommandés pour les patients qui ont besoin d'une autonomie de plus de quatre heures ou de débits supérieurs à 2 L/minute pendant plus de 30 minutes.

L'Aetna [2004], une importante compagnie d'assurance maladie nord-américaine, recommande dans un bulletin sur sa politique de services cliniques intitulé *Oxygen for Home Use* de considérer les appareils d'oxygénothérapie portatifs très légers (dont les appareils à oxygène liquide) comme « médicalement nécessaires pour les adhérents qui se rendent régulièrement au-delà des limites d'un système fixe d'oxygénothérapie doté d'une tubulure de 50 pieds [15 m] pendant deux heures ou plus par jour, plusieurs jours par semaine (minimum de six heures par semaine) » [*trad.*]. L'Aetna mentionne que les services couverts dépendent des programmes individuels auxquels les adhérents souscrivent et qu'un suivi régulier est une condition obligatoire de renouvellement de l'assurance. Comme au Royaume-Uni, le principal critère de prescription d'appareils légers est le degré de mobilité du patient. Les lignes directrices du ministère des Anciens combattants des États-Unis sur l'octroi du matériel respiratoire sont moins précises, mais elles indiquent néanmoins que les appareils à oxygène liquide sont prescrits « [...] à des patients ambulatoires qui sont susceptibles d'utiliser une quantité considé-

rable d'oxygène provenant d'appareils portatifs » [*trad.*] [Department of Veterans Affairs, 2000].

4.3 UTILISATION ET ACCESSIBILITÉ

Aux États-Unis et dans quelques pays européens, le traitement par oxygène liquide est couramment offert à certains patients lorsqu'il est jugé nécessaire pour assurer leur mobilité. Un rapport d'enquête sur les bénéficiaires de *Medicare* qui recevaient une oxygénothérapie à domicile aux États-Unis en 1991-1992 révèle que 19 % des utilisateurs courants et 14 % des nouveaux utilisateurs d'appareils d'oxygénothérapie recevaient de l'oxygène liquide. Les facteurs suivants étaient associés aux demandes d'oxygène liquide des nouveaux utilisateurs : prescription d'un appareil à oxygène liquide, lieu de résidence situé dans une zone métropolitaine, race blanche et âge (demandes provenant plus souvent de personnes âgées de 66 à 75 ans que de personnes de plus de 76 ans) [Silverman *et al.*, 1997]. Kacmarek [2000] soulignait qu'en raison des pressions exercées pour limiter les coûts dans le système de santé et des coupures dans les services d'oxygénothérapie à domicile remboursés par le gouvernement, le nombre de personnes qui utilisaient de l'oxygène liquide aux États-Unis avait baissé à moins de 10 % des patients sous oxygénothérapie à domicile.

Dans leur recension des services dispensés dans cinq pays européens, Garattini et ses collaborateurs [2001] ont observé de grandes variations dans l'organisation des services d'oxygénothérapie à domicile (notamment dans les modes de distribution) et le taux d'utilisation des différents types d'appareils d'oxygénothérapie. Les principales sources d'oxygène employées à domicile étaient les concentrateurs et les bouteilles d'oxygène gazeux; l'oxygène liquide était utilisé par 10 % ou moins des patients recevant une oxygénothérapie à domicile en Allemagne et au Danemark, et par environ 25 % des patients français. L'Italie faisait figure d'exception, plus de 80 % des patients utilisant de l'oxygène liquide [Garattini *et al.*, 2001; Fauroux *et al.*, 1994]. Au Royaume-Uni, l'oxygène liquide n'est pas offert par les services nationaux de santé, mais peut être acheté par des hôpitaux; les patients peuvent aussi s'en procurer à titre privé [Wedzicha, 1999].

Garattini et ses collaborateurs [2001] sont parvenus à recueillir des données sur les coûts du traitement par oxygène liquide dans certains pays. Il est toutefois très difficile, à partir des données disponibles, de déterminer ce qui est inclus dans ces coûts, comment circulent les fonds dans le système de santé en question et, par conséquent, de comparer les systèmes de distribution utilisés dans différents pays et différentes régions. En Italie, l'oxygène liquide est remboursé aux pharmacies à un tarif de 4,65 euros par mètre cube, alors que le tarif du gaz comprimé est de 5,58 euros par mètre cube; le tarif plus bas de l'oxygène liquide en Italie pourrait expliquer pourquoi il y est plus utilisé. En France, le tarif quotidien par patient pour un concentrateur a été établi à 8,70 euros; le tarif quotidien de remboursement de l'oxygène liquide y est de 16,4 euros. Au Danemark, le service national de santé rembourse environ 11,41 euros par jour par patient pour l'oxygène liquide; aucune donnée comparable n'a pu être obtenue pour d'autres systèmes de distribution.

Le taux d'utilisation de l'oxygène liquide est inconnu au Canada, mais il semble qu'il varie d'une province et d'une région à l'autre et qu'il dépende de la couverture des régimes d'assurance des patients [AETMIS, 2004]. On sait que l'oxygène liquide est davantage employé en Ontario, où il est couvert par le programme provincial d'oxygénothérapie à domicile, qui utilise des formulaires d'évaluation standardisés et un processus centralisé de demande et d'acceptation, et où le marché a évolué différemment[3].

Il n'y a pas à l'heure actuelle de registre sur le coût ou le taux d'utilisation de l'oxygène liquide au Québec. Selon les résultats de l'enquête menée auprès d'informateurs clés lors de l'élaboration du rapport de

3. Danielle St-Jules, Hôpital Maisonneuve-Rosemont, et Christel Galea, Programme d'oxygénothérapie à domicile Ontario, communications personnelles.

l'AETMIS [2004] sur les appareils portatifs d'oxygénothérapie, en raison de son coût relativement plus élevé, l'oxygène liquide n'est offert dans le cadre du programme public québécois que comme « traitement d'exception » (c'est-à-dire à des patients qui passent beaucoup de temps hors de la maison pour leur travail ou leurs loisirs, ou qui ont besoin de débits élevés), ce qui n'empêche pas les patients qui en veulent – qu'ils soient ou non couverts par un régime privé d'assurance – d'avoir accès à l'oxygène liquide en s'adressant directement aux fournisseurs.

4.4 EFFICACITÉ CLINIQUE ET EFFICIENCE

Trois des essais contrôlés randomisés recensés répondant aux critères d'inclusion mentionnés à la section 3 fournissaient des données sur l'efficacité pratique du traitement par oxygène liquide. Un résumé de ces études est présenté au tableau 2.

L'étude de Vergeret et ses collaborateurs [1989] a montré que la durée quotidienne du traitement était plus longue chez les sujets qui utilisaient des appareils portatifs (à oxygène liquide ou gazeux) que chez les patients qui utilisaient des systèmes fixes, mais il n'y avait aucune différence entre l'oxygène liquide et l'oxygène gazeux. Seulement 60 % des patients dotés d'appareils portatifs s'en sont servi, mais il n'y avait aucun utilisateur d'oxygène liquide parmi ceux qui ne s'en sont jamais servi. L'étude de Lock et ses collaborateurs [1992], qui comprenait un très petit échantillon et une courte période d'évaluation, montrait néanmoins que les patients qui utilisaient un appareil portatif à oxygène liquide passaient de plus longues périodes à l'extérieur de la maison que ceux qui utilisaient un appareil à oxygène gazeux. L'outil d'évaluation de la qualité de vie n'indiquait aucune amélioration, bien que les patients aient jugé les appareils à oxygène liquide plus faciles à utiliser et les aient préférés aux systèmes à oxygène gazeux. Une étude suédoise a permis de recueillir des données distinctes sur les coûts et la qualité de vie. Elle a révélé qu'un traitement par oxygène liquide coûtait environ quatre fois plus cher qu'un traitement standard et que les preuves indiquant que le traitement par oxygène liquide améliore la qualité de vie sont minces [Andersson *et al.*, 1998].

Une recension Cochrane sur l'oxygénothérapie ambulatoire (comprenant tous les types d'appareils portatifs d'oxygénothérapie) a exclu les études de Vergeret et de Lock parce qu'elles ne comportaient pas de groupe témoin recevant un placebo [Ram et Wedzicha, 2004]. L'essai d'Andersson n'était pas mentionné parmi les études incluses ou exclues. Un essai contrôlé randomisé antérieur sur l'efficacité pratique de l'oxygène liquide comparativement à un placebo (air liquide) a été repéré [Lilker, 1975], mais il n'a pas été retenu pour le présent rapport, l'étude étant trop ancienne et n'ayant pas effectué de comparaison avec un autre système d'alimentation. La recension Cochrane ne comprenait qu'un seul autre essai contrôlé randomisé n'ayant pas étudié l'oxygène liquide, celui de McDonald et ses collaborateurs [1995].

TABLEAU 2

Essais contrôlés randomisés sur l'efficacité pratique du traitement par oxygène liquide

ÉTUDE ET OBJECTIFS	MÉTHODES	RÉSULTATS
Andersson *et al.*, 1998, Suède Comparer les effets sur la qualité de vie et les coûts d'un appareil à oxygène liquide à ceux d'un appareil standard (concentrateur plus bouteille portative d'oxygène gazeux).	Essai multicentrique prospectif randomisé Analyse coût-utilité *n* = 51 patients souffrant d'hypoxémie (47 atteints de MPOC) ayant des activités à l'extérieur du domicile Randomisation des patients : • oxygène liquide (*n* = 29) • traitement standard (*n* = 22) Aucune différence statistique entre les groupes comparés Patients suivis pendant 6 mois Outils d'évaluation de la qualité de vie liée à la santé : SIP (*Sickness Impact Profile*), EuroQol	Les résultats obtenus à l'aide du SIP ont indiqué une amélioration de la qualité de vie après 6 mois dans le groupe traité avec l'oxygène liquide; aucune amélioration n'a été notée dans le groupe ayant reçu le traitement standard. Les effets sur la qualité de vie évalués à l'aide de l'outil EuroQol étaient moins clairs. Coût total moyen par patient pendant 6 mois (services de santé, oxygène, matériel) : 1 310 $ US pour les patients ayant reçu le traitement standard; 4 950 $ US pour ceux qui ont été traités avec l'oxygène liquide.
Lock *et al.*, 1992, Royaume-Uni Évaluer l'utilisation et l'acceptabilité de l'oxygène liquide par rapport à l'oxygène gazeux.	Essai contrôlé randomisé; plan croisé *n* = 15 (12 hommes); tous atteints d'une maladie pulmonaire chronique accompagnée d'hypoxémie; tous non-fumeurs; un outil d'évaluation standardisé montrait une amélioration d'au moins 10 % chez tous les patients utilisant un appareil portatif d'oxygénothérapie; 11 patients recevaient une oxygénothérapie de longue durée; 8 patients utilisaient des appareils portatifs avant l'étude. Appareils à oxygène liquide et gazeux attribués dans un ordre aléatoire pendant 2 périodes de 8 semaines Qualité de vie évaluée par l'outil CRDIQ* à des intervalles de 4 semaines; épreuve de marche de 6 minutes effectuée au début de l'étude, puis après 8 et 16 semaines; les patients notaient dans un journal le nombre d'heures d'utilisation des appareils portatifs et des concentrateurs, de même que le temps passé à l'extérieur.	Distance de marche non modifiée par le poids de l'un ou l'autre des appareils Données tirées du journal de 13 patients Oxygène liquide utilisé plus longtemps (en moyenne 23,5 h par semaine) que l'oxygène gazeux (en moyenne 10 h par semaine). Les utilisateurs d'oxygène liquide ont en moyenne passé 19,5 h par semaine à l'extérieur de leur domicile, alors que les utilisateurs d'oxygène gazeux y ont passé 15,5 h par semaine en moyenne. Le questionnaire CRDIQ n'a montré aucun changement constant durant l'étude. Oxygène liquide préféré par 11 des 15 patients en raison de la durée d'utilisation et de la facilité de transport et de remplissage.
Vergeret *et al.*, 1989, France Évaluer les effets des appareils portatifs d'oxygénothérapie sur la durée quotidienne du traitement et les activités de la vie quotidienne; évaluer les avantages de l'oxygène gazeux et de l'oxygène liquide.	Essai contrôlé randomisé *n* = 159 (139 hommes) sujets atteints d'une MPOC grave accompagnée d'hypoxémie déjà sous oxygénothérapie de longue durée avec un appareil fixe qui n'utilisaient pas un appareil portatif Critères d'exclusion : patients utilisant déjà un appareil portatif; maladies concomitantes graves Randomisation des patients : • concentrateur d'oxygène (CO) (*n* = 75) • CO plus appareil portatif à oxygène gazeux (*n* = 51) • appareil à oxygène liquide (*n* = 33) Aucune différence statistique entre les caractéristiques des patients des divers groupes de l'étude Patients suivis pendant 1 an Évaluation : bilans de santé au début de l'étude, puis tous les 3 mois par la suite, et visites à domicile tous les mois. Les évaluateurs ont recueilli des données quantitatives et qualitatives, à l'aide d'outils non standardisés, sur la durée du traitement, les activités des patients et leur opinion sur le traitement.	Aucune différence sur les plans clinique et fonctionnel entre les groupes Durée quotidienne de traitement plus longue chez les utilisateurs d'appareils portatifs (17 h *vs* 14 h); aucune différence entre l'oxygène gazeux et l'oxygène liquide Seulement 60 % des patients qui avaient un système portatif l'ont utilisé à l'extérieur de leur domicile; 25 % ne s'en sont jamais servi (tous avaient des appareils à oxygène gazeux).

* CRDIQ : « Chronic Respiratory Disease Index Questionnaire » (questionnaire d'évaluation de la maladie respiratoire chronique)

Le tout premier essai contrôlé par placebo sur des appareils portatifs d'oxygénothérapie a été mené récemment au Québec. Les résultats n'ont pas encore été publiés[4], mais des données préliminaires sur 22 des 24 patients inscrits à l'essai ont été présentées en novembre 2003 [Lacasse *et al.*, 2003]. Même si le plan d'étude ne comportait pas de groupe traité avec de l'oxygène liquide, les résultats sont importants pour l'évaluation des appareils d'oxygénothérapie portatifs en général. Il faut toutefois les interpréter avec prudence à cause de la petite taille de l'échantillon et des difficultés rencontrées lors du recrutement. L'équipe de recherche a conclu qu'il n'est pas justifié de prescrire systématiquement des appareils portatifs aux patients atteints de MPOC qui ont besoin d'oxygénothérapie, car les données indiquent que ces appareils n'améliorent pas la qualité de vie ni l'observance thérapeutique.

Pépin et ses collaborateurs [1996] ont mené en France une vaste étude de cohorte prospective incluant 10 % de patients sous oxygénothérapie de longue durée (sujets recrutés au hasard dans 14 centres régionaux). Ils ont découvert que des appareils portatifs (à oxygène liquide ou gazeux) avaient été prescrits à 271 des 893 patients (30 %) recevant une oxygénothérapie à domicile. Seulement 38 des 271 patients (14 %) ont utilisé de l'oxygène à l'extérieur de leur domicile, et 37 d'entre eux disposaient d'un appareil à oxygène liquide. L'article publié sur l'étude ne donnait pas les critères de prescription des appareils à oxygène liquide ou gazeux.

En résumé, il n'y a guère de données indiquant si les appareils à oxygène liquide permettent ou non de prolonger la durée quotidienne de traitement et d'améliorer la qualité de vie comparativement aux appareils à oxygène gazeux ou aux systèmes fixes. Les preuves indiquant que cette technologie est plus conviviale et comporte certains avantages techniques par rapport aux systèmes à gaz comprimé sont minces. Il est probable que ces avantages profitent surtout à un petit groupe de patients qui sont relativement actifs et qui observent leur traitement, bien qu'il n'y ait pas d'indicateurs sociaux ou cliniques reconnus susceptibles de constituer des prédicteurs fiables du degré d'utilisation ou des bienfaits de cette technologie.

4.5 PERSPECTIVE DES PATIENTS

Un site Web créé par des patients donne un aperçu de l'opinion des utilisateurs d'appareils à oxygène liquide[5]. Voici les commentaires de certains patients à ce sujet, publiés dans le bulletin de septembre 2004 :

- les appareils à oxygène liquide sont moins bruyants que les concentrateurs et ne dégagent pas de chaleur;
- les concentrateurs exigent un raccordement électrique qui coûte entre 25 et 30 $ US par mois aux patients (en septembre 2003); la chaleur additionnelle produite peut aussi faire grimper la facture d'électricité pour la climatisation en été;
- les fournisseurs doivent effectuer environ cinq fois plus de livraisons pour le remplissage des appareils à gaz comprimé (gros réservoir et petites bouteilles) que pour le remplissage des appareils à oxygène liquide; ces derniers doivent être remplis toutes les deux à trois semaines;
- selon le barème de *Medicare* en vigueur dans certains États (la Floride a été l'exemple utilisé dans le site Web susmentionné; prix en dollars américains de 2001), la quote-part est la même, quel que soit le type d'appareil, soit 42,75 $ US par mois.

4. Selon le Dr Yves Lacasse, les résultats de l'essai seraient publiés sous peu (communication personnelle).

5. www.portableoxygen.org/ (consulté le 16 février 2004).

4.6 ÉVOLUTION DE LA TECHNOLOGIE

D'ici quelques années, de nouveaux systèmes portatifs d'oxygénothérapie pourraient offrir des solutions de rechange intéressantes aux appareils à oxygène liquide, bien qu'il n'y ait pas eu d'évaluation scientifique de leur coût ni de leur efficacité pratique comparativement aux systèmes existants. Ces nouveaux systèmes sont, notamment, des concentrateurs à domicile pouvant servir au remplissage des bouteilles d'oxygène gazeux et liquide et des concentrateurs portatifs [McCoy, 2001; Kacmarek, 2000]. Un concentrateur portatif aurait été mis au point à Montréal, et des essais cliniques seraient en cours [Bouchard, 2004].

5 CONCLUSION

Il y a très peu d'informations sur l'efficacité pratique des appareils à oxygène liquide comparativement aux appareils à gaz comprimé au chapitre de l'amélioration de l'observance thérapeutique, de la mobilité et de la qualité de vie. Il est néanmoins évident qu'une petite minorité de patients atteints de MPOC qui reçoivent une oxygénothérapie de longue durée et mènent une vie active profiteraient de la portabilité accrue qu'offrent les appareils à oxygène liquide. Bien que les preuves scientifiques à cet égard soient minces, ils pourraient contribuer à améliorer la qualité de vie de certains patients.

Il est peu probable que des données scientifiques supplémentaires sur le rapport coût-efficacité de cette technologie puissent contribuer à résoudre le dilemme que pose l'instauration d'une politique d'accès à un service qui offrirait possiblement des avantages supplémentaires, mais à un coût plus élevé.

Il faudrait que des indications cliniques et sociales ou des critères d'évaluation du traitement par oxygène liquide soient définis par un processus de concertation entre les pneumologues et les décideurs du Québec, et ce, dans le cadre de lignes directrices globales sur les programmes d'oxygénothérapie à domicile.

6 RÉPERCUSSIONS SUR LES POLITIQUES, LA PRATIQUE ET LA RECHERCHE

Comme le mentionne le rapport que l'AETMIS [2004] a réalisé sur les appareils portatifs d'oxygénothérapie en général, il est très improbable que d'autres essais sur ce sujet aident à répondre aux questions qui se posent sur les indications et l'utilisation appropriée des appareils à oxygène liquide. Il serait donc vraisemblablement plus fructueux et plus pratique d'encourager une approche de concertation entre chercheurs, cliniciens et décideurs pour désigner les types de patients à qui un traitement par oxygène liquide devrait être prescrit et de déterminer des modes de suivi dans le cadre d'un programme global d'oxygénothérapie à domicile. Toutefois, certains cliniciens ne sont pas convaincus que l'établissement de critères devrait avoir préséance sur les autres besoins de ce groupe de patients et aiderait à la prise de décisions cliniques ou politiques.

ANNEXE : HIÉRARCHIE DES NIVEAUX DE PREUVE ET NIVEAUX DE RECOMMANDATION

HIÉRARCHIE DU NIVEAU DE PREUVE		NIVEAU DE RECOMMANDATION	
Niveau	**Type de preuve**	**Niveau**	**Type de preuve**
Ia	Preuve provenant de revues systématiques ou de méta-analyses d'essais contrôlés randomisés	A	Recommandation fondée sur une preuve de niveau I
Ib	Preuve provenant d'au moins un essai contrôlé randomisé		
IIa	Preuve provenant d'au moins une étude contrôlée sans randomisation	B	Recommandation fondée sur une preuve de niveau II ou extrapolée d'une preuve de niveau I
IIb	Preuve provenant d'au moins un autre type d'étude quasi expérimentale		
III	Preuve provenant d'études descriptives non expérimentales telles des études comparatives, des études de corrélation et des études de cas-témoins	C	Recommandation fondée sur une preuve de niveau III ou extrapolée d'une preuve de niveau I ou II
IV	Preuve provenant de rapports de comités d'experts ou de l'opinion et (ou) de l'expérience clinique d'autorités respectées	D	Recommandation directement fondée sur une preuve de niveau IV ou extrapolée d'une preuve de niveau I, II ou III
NICE	Preuve provenant de lignes directrices du NICE ou d'un programme d'évaluation critique et contextuelle des technologies de la santé	NICE	Recommandation provenant de lignes directrices du NICE ou d'un programme d'évaluation critique et contextuelle des technologies de la santé
HSC	Preuve provenant des *Health Service Circulars*	HSC	Recommandation provenant des *Health Service Circulars*

Source : National Institute for Clinical Excellence (NICE). Chronic obstructive pulmonary disease: Management of chronic obstructive pulmonary disease in adults in primary and secondary care. Thorax 2004; 59(Suppl 1):13.

RÉFÉRENCES

Aetna. Oxygen for home use. Clinical Policy Bulletins no. 0002. Hartford, CT : Aetna; 2004. Disponible : http://www.aetna.com/cpb/data/CPBA0002.html (consulté le 1er avril 2004).

Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS). La technologie hospitalière à domicile : les appareils portatifs d'oxygénothérapie pour le traitement de la maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC). Rapport préparé par Susan Law et Pascale Lehoux (AETMIS 04-03). Montréal : AETMIS; 2004 : xviii-92 p.

Andersson A, Ström K, Brodin H, Alton M, Boman G, Jakobsson P, et al. Domiciliary liquid oxygen versus concentrator treatment in chronic hypoxaemia: a cost-utility analysis. Eur Respir J 1998; 12(6):1284-9.

Bouchard A. Un singulier malade expert-conseil. La Presse, 14 mars 2004, cahier Actuel Santé : 1-2.

Comité d'oxygénothérapie à domicile. Les nouvelles recommandations pour l'oxygénothérapie à domicile. Le Clinicien 2000;15(2):116-34.

Department of Veteran Affairs. Home Respiratory Care Program. VHA Handbook 1173.13. Transmittal sheet. Washington, DC : DVA; 1er novembre 2000.

Fauroux B, Howard P, Muir JF. Home treatment for chronic respiratory insufficiency: the situation in Europe in 1992. Eur Respir J 1994;7(9):1721-6.

Garattini L, Cornago D, Tediosi F. A comparative analysis of domiciliary oxygen therapy in five European countries. Health Policy 2001;58(2):133-49.

Global Initiative for Chronic Obstructive Lung Disease (GOLD). Global strategy for the diagnosis, management, and prevention of chronic obstructive pulmonary disease. Executive summary, NHLBI/WHO workshop report, 1998. Bethesda, MD : NHLBI; 2001.

Kacmarek RM. Delivery systems for long-term oxygen therapy. Respir Care 2000;45(1):84-94.

Lacasse Y, Lecours R, Pelletier C, Bégin R, Maltais F. Oxygène de déambulation chez les MPOC oxygénodépendants : essai clinique randomisé. Réunion annuelle conjointe de l'Association des pneumologues de la province de Québec et du Réseau en santé respiratoire du FRSQ. Québec : 14 et 15 novembre 2003.

Lilker ES, Karnick A, Lerner L. Portable oxygen in chronic obstructive lung disease with hypoxemia and cor pulmonale. A controlled double-blind crossover study. Chest 1975;68(2):236-41.

Lock SH, Blower G, Prynne M, Wedzicha JA. Comparison of liquid and gaseous oxygen for domiciliary portable use. Thorax 1992;47(2):98-100.

McCoy R. Oxygen therapy devices. Los Angeles, CA : RT; octobre-novembre 2001. Disponible : http://www.rtmagazine.com/articles.ASP?ArticleId=R0112A03 (consulté le 18 février 2004).

McDonald CF, Blyth CM, Lazarus MD, Marschner I, Barter CE. Exertional oxygen of limited benefit in patients with chronic obstructive pulmonary disease and mild hypoxemia. Am J Respir Crit Care Med 1995;152(5 ptie 1):1616-9.

Medical Research Council (MRC) Working Party. Long-term domiciliary oxygen therapy in chronic hypoxic cor pulmonale complicating chronic bronchitis and emphysema. Lancet 1981;1(8222):681-6.

National Institute for Clinical Excellence (NICE), réalisé par le National Collaborating Centre for Chronic Conditions (NCC-CC). Chronic obstructive pulmonary disease: Management of chronic obstructive pulmonary disease in adults in primary and secondary care. Clinical Guideline 12. Londres, R.-U. : NICE; 2004. Disponible : www.nice.org.uk/pdf/CG012_niceguideline.pdf (consulté le 27 août 2004). Aussi publié dans : Thorax 2004;59(suppl 1):1-232.

Nocturnal Oxygen Therapy Trial (NOTT) Group. Continuous or nocturnal oxygen therapy in hypoxemic chronic obstructive lung disease—a clinical trial. Ann Intern Med 1980;93(3):391-8.

Pépin J-L, Barjhoux CE, Deschaux C, Brambilla C, ANTADIR Working Group on Oxygen Therapy. Long-term oxygen therapy at home: compliance with medical prescription and effective use of therapy. Chest 1996;109(5):1144-50.

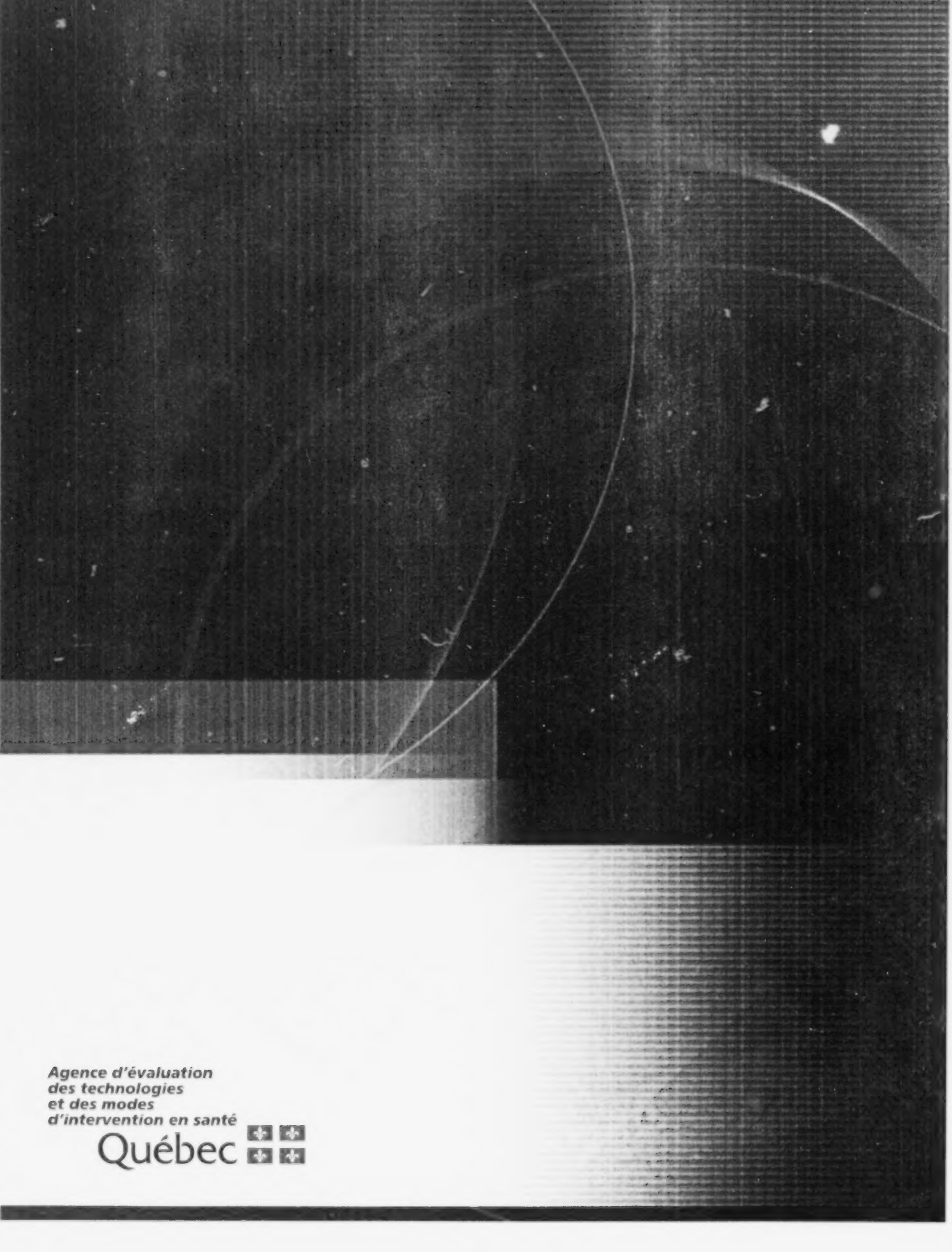
Ram FSF, Wedzicha JA. Ambulatory oxygen for chronic obstructive pulmonary disease (Cochrane Review). Dans : The Cochrane Library, n° 1, 2004. Chichester, R.-U. : John Wiley & Sons; 2004.

Royal College of Physicians (RCP). Domiciliary oxygen therapy services: Clinical guidelines and advice for prescribers. Report of a working party. Londres, Angleterre : RCP; 1999.

Silverman B, Gross T, Babish JD. Home oxygen therapy in Medicare beneficiaries, 1991 and 1992. Chest 1997;112(2):380-6.

Vergeret J, Brambilla C, Mounier L. Portable oxygen therapy: use and benefit in hypoxaemic COPD patients on long-term oxygen therapy. Eur Respir J 1989;2(1):20-5.

Wedzicha JA. Domiciliary oxygen therapy services: clinical guidelines and advice for prescribers. Summary of a report by the Royal College of Physicians. J R Coll Physicians Lond 1999;33(5):445-7.



Agence d'évaluation
des technologies
et des modes
d'intervention en santé

Québec